資料3

自己評価書概要（令和元年度評価及び中長期目標期間評価）（案）

国立研究開発法人　日本医療研究開発機構

目　次

Ⅰ 研究開発の成果の最大化その他の業務の質の向上に関する事項
（１）機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等
①医療に関する研究開発のマネジメントの実践・・・

Ⅰ（1）機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等
①医療に関する研究開発のマネジメントの実現

令和元年度評価

評定（自己評価）	
A	①**PD・PS・PO体制によるプロジェクトマネジメントシステムを着実に運用**。支援・進捗管理の迅速化・徹底、複数事業間の情報交換や連携等を適切に実施。課題終了後の**実用化進捗状況調査**を実施し、支援終了後の継続状況について把握等を行った。②**研究データの統合的活用**の推進について、データマネジメントプラン（DMP）書式の改訂に当たりAMEDの研究開発成果に係るデータの取扱に関する検討を行うとともに、平成30年5月からの新規事業において義務づけていたDMP提出について、令和2年度の委託研究開発契約書改訂（令和元年度実施）に伴い、委託研究開発の全課題へ拡大し、AMED研究開発成果データのより網羅的な把握、マネジメント機能または触媒機能の強化、さらには利活用の促進に繋がることが期待される。③プロジェクトマネジメントの取組強化のため、**AMEDオンライン課題評価システム（ARS）**を運用し、課題評価委員、機構職員双方の利便性向上を図った。また、**AMED研究開発マネジメントシステム（AMS）**について、AMEDオンライン課題評価システムとの連携により、速報性を向上し、課題採択時の重複チェックへの活用を可能とした。④国際レビューアの導入について、令和元年度事業では13事業14枠、令和2年度事業では14事業17枠へ対象を拡大し、より幅広い専門的な視点から詳細かつ公平なコメント・評価、海外からの視点による評価が得られている。AMEDレビューア候補者の登録促進活動を行った結果、419名のレビューア候補者の登録があり、AMEDレビューア不足解消に貢献（本活動以前のレビュー協力者は100名程度）。⑤**研究マネジメントチェック項目**（医薬品、医療機器、再生医療）については複数事業において着実に運用を行い、実用化に向けた課題等の把握による事前評価や採択後の研究計画書の充実につなげた。以上から、「研究開発成果の最大化」に向けて顕著な成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められる。

① 研究開発プロジェクトマネジメントシステムの着実な運用

①-1 PD・PS・PO体制によるプロジェクトマネジメントを着実に実施。支援・進捗管理の迅速化、徹底、事業内・事業間の情報交換や連携、研究者への指導・助言の実施など採択から事後評価まできめ細かな事業管理を実現。

（例1）創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業(BINDS)において支援・進捗管理に報告システムを導入し、PS、POが進捗状況を即時に把握、事業内連携／重点化に適した課題を新たに7課題認定。

（例2）プロジェクトの一体運営を実現するため、感染症研究課が所管する5事業合同のPD・PS・PO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。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推進し、さらに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を強化。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等を実施。

①-2 課題支援終了後の実用化進捗状況の把握のための仕組み検討のため、令和元年度は、平成28年度終了課題のうち、生命・病態解明等を目指す課題及び医薬品・医療機器等の開発を目指す課題を対象に実用化進捗情報についての調査をWebアンケートにて実施。

調査手法（3年前の連絡先情報を用いた調査依頼、ウェブアンケート方式）がフィージブルであること、調査結果についても、研究者代表者へ直接確認することで、論文や知財情報、プレス情報だけでは把握できていなかった支援終了後のAMED内外での研究内容の継続についてもフォローアップすることができ、有用であることが把握できた。

② 研究データの統合的活用の推進

データマネジメントプラン（DMP）のデータについてAMED研究開発マネジメントシステム（AMS）へのデータ取り込みを開始し、提出状況および収載情報の分析を試行し、DMP書式の改訂案を作成した。改訂に当たって、AMEDの研究開発成果に係るデータの取扱に関する検討、委託研究開発契約書雛形の改訂、「AMED研究データ利活用に係るガイドライン」の策定を行った。また、DMPについて、2月に他の資金配分機関（NEDO、JST）とのデータマネジメントプラン比較に基づくデータ収集項目の充実等や研究者フレンドリーなフォーマットへの改訂を行った。DMP書式の改訂により、研究実施機関のデータ利活用に対する基本方針の有無等の把握や、データに関わる人材をより幅広く捉えることができるようになり、研究開発データの全体像の把握が期待される。

委託研究開発契約書の一部改訂に伴って引用されるガイドラインの別添として、DMPを一体化して位置づけを明確化し、DMPの提出義務・機能や役割等を示すとともに、平成30年5月からの新規事業において義務づけていたDMP提出について、令和2年度の委託研究開発契約書改訂（令和元年度実施）に伴い委託研究開発の全課題へ拡大することにより、AMED研究開発成果データのより網羅的な把握、マネジメント機能または触媒機能の強化、さらには利活用の促進に繋がることが期待される。

Ⅰ（1）機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等
①医療に関する研究開発のマネジメントの実現　令和元年度評価

③ AMEDオンライン課題評価システム（ARS）AMED研究開発マネジメントシステム（AMS）の整備と運用

・ AMED職員、課題評価委員双方の利便性向上、業務の合理化・効率化を目的としたARSを平成30年度に運用開始。令和元年度末迄の累積利用実績は事前評価において269委員会、約8,000課題、中間・事後評価では275委員会、約2,100課題の評価を実施。書面評価を含め、利用した評価委員は約1,300名。
・ AMED研究開発マネジメントシステム（AMS）に関して、令和元年度にはAMEDオンライン課題評価システム（ARS）との連携による課題情報の速報性の向上を図り、課題採択時の重複チェックへの活用を可能とした。これによりAMSから採択前の課題についても重複チェック対象とすることとができるようになった。
・ AMSにPubMed型の用語辞書によるキーワードや分類コードを全課題に付与し索引付けを行い分析手法の高度化につなげ、また、研究開発タグの改訂、次期中長期計画に関するタグの付与方法等に取り組んだ。
・ 16機関が実施する研究開発課題を統合するデータベースについて試行。

④ 国際レビューアの導入

・平成30年度事業の一部4事業4枠で先行的に導入、令和元年度事業では13事業14枠、令和2年度事業（令和元年11月から公募開始）では14事業17枠へ対象を拡大した。
　日本人評価委員や事業担当者から、AMEDレビューアからのコメントについて、より幅広い専門的な視点から詳細でかつ公平なコメント・評価、海外からの視点による評価が得られることにより、評価等において参考になり、非常に有益という意見が得られた。
・ AMEDレビューア候補者向けにAMEDの研究紹介やレビューシステムの説明等を掲載し、登録を促進するウェブサイトを公開し、AMEDレビューア候補者の登録促進活動を開始。AMEDレビューア候補者の登録促進活動を開始。ウェブサイトでの評価プロセスや10段階評価スケール等の説明、国際化の重要性について説明する理事長のインタビュービデオにより、AMEDの取組に対する理解を深めてもらった。また、AMEDとつながりを持つメリットを訴求するための情報提供、さらには登録済のAMEDレビューアへの同僚や共同研究者への紹介の依頼や、学術ジャーナル読者に向けた広告掲載等の情報発信を広く行うことにより、ウェブ公開約1ヶ月後の令和2年3月末時点で419名のレビューア候補者の登録があり、AMEDレビューア不足解消に貢献（本活動以前のレビュー協力者は100名程度）。

⑤ 研究マネジメントチェック項目の策定・運用

　研究マネジメントチェック項目（医薬品）について、令和元年度は、医薬品の実用化に関する公募課題を有する9事業について、同（医療機器）では医療機器の実用化に関する公募課題を有する2事業で運用し、同（再生医療）では1事業の公募で運用することにより、切れ目無く臨床研究等への移行を促進した。
　その結果、基礎から臨床研究までの各フェーズにおける現時点の正確な位置づけや、実用化に向けた課題点の明確化を図ることにより、事前評価における当該情報の活用、採択した研究課題について研究計画書の更なる充実につなげた。

Ⅰ（1）機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等
①医療に関する研究開発のマネジメントの実現

期間実績評価

評定（自己評価）
A

①**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、②PD・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**の策定し着実に導入を実施、③国際水準での評価等を目指した**国際レビューア**の導入、④**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、⑤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。⑥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。

	H27	H28	H29	H30	R1	見込	期間
自己評価	A	A	A	A	A	A	A
主務大臣評価	A	A	A	A		A	

① 研究開発プロジェクトマネジメントシステムの確立

①-1 PD・PS・PO体制によるプロジェクトマネジメントを確立。実地調査や領域会議、班会議等を通じた進捗管理、研究者への指導・助言の実施など採択から事後評価まできめ細かな事業管理を実現。

（例1）革新的医療技術創出拠点プロジェクトにおける全ての拠点間の連携推進のため、全体会議を開催し、拠点における好事例の共有や重要課題の確認、協議等を実施。

（例2）次世代がん医療創生研究事業において、研究室単位の対応が難しい技術支援を実施するため、研究者とのマッチング会議等を通じて、研究支援班による最適かつ効果的な技術支援を行い、シーズ育成の成果創出を実現。

（例3）感染症研究革新イニシアティブ（J-PRIDE）において、AMEDの国際的取組との縦横連携により、採択研究者が参加する日英ワークショップを開催し、国際共同研究の土壌を形成。

①-2 AMEDで取り組むべき横断的な課題について、有機的な連携のもと推進するために、PD・PS・PO及び機構職員が意見交換を行い、共通認識を醸成することを目的とし、プロジェクト連携シンポジウムを実施。

①-3　課題支援終了後の実用化進捗状況の把握のための仕組み検討のため、平成30年度における試行的実施に結果等を踏まえて、令和元年度は、平成28年度終了課題のうち、生命・病態解明等を目指す課題及び医薬品・医療機器等の開発を目指す課題を対象に実用化進捗情報についての調査をWebアンケートにて実施。

② 適切な課題評価・進捗管理の実施

②-1 課題評価における利益相反ルールの設定

PD・PS・POに加えて評価委員に対する利益相反マネジメントルールを整備、公正かつ適切な評価、課題支援を担保。

②-2 10段階評価スケールの導入

10段階共通評価スケールを導入し、平成29年度から各事業で実施し、多種多様な事業・課題の評価の斉一化を実現。

②-3 研究マネジメントチェック項目の策定

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、運用を開始した平成30年度以降、医薬品の実用化に関する公募課題を有する17事業について活用し、同（医療機器）では医療機器の実用化に関する公募課題を有する2事業で運用し、同（再生医療）では1事業の公募で運用するなど定着を図った。

Ⅰ（1）機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等
①医療に関する研究開発のマネジメントの実現

③ 国際レビューアの導入
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年度事業の一部4事業4枠で先行的に導入、令和元年度事業では13事業14枠、令和2年度事業では14事業17枠へ対象を拡大した。

④ 研究データの統合的活用の推進
④−1「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。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」にも拡大。
平成30年11月に改定を行い、平成31年度（令和元年度）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。

④−2 AMSへのデータ取り込みを開始し、提出状況および収載情報の分析を試行し、事業統括室のDMP書式の改訂案作成に協力した。また、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、令和2年度から全課題へ拡大した。

⑤ AMEDオンライン課題評価システム（ARS）とAMED研究開発マネジメントシステム（AMS）の整備と運用
⑤−1 AMEDオンライン課題評価システムを構築、ウェブ上で効率的に課題評価を行うツールとして課題評価委員と機構職員による利用が浸透。
⑤−2　AMED研究開発マネジメントシステム（AMS）に関して、令和元年度にはAMEDオンライン課題評価システム（ARS）との連携による課題情報の速報性の向上を図り、課題採択時の重複チェックへの活用を可能とした。

⑤−3 令和元年度にはAMEDオンライン課題評価システム（ARS）との連携による課題情報の速報性の向上をはかった他、PubMed型の用語辞書によるキーワードや分類コードを全課題に付与し、索引付けを行い、分析手法の高度化に取り組んだ。
研究開発課題のマップ機能を備えた分析可視化ツール（AMSfocus）を構築、公開した。また、事業課へのアンケート、聞き取り調査等を行い、機構内ニーズの把握を行った他、CSTI、NISTEPおよび日本医療機能評価機構等の外部組織との意見交換を行い、外部連携も活用した解析機能強化に向けた検討を進めた。

⑥ AMEDの機能強化のための組織改編等
⑥−1 組織改編
- 平成29年4月に、基盤研究を横割りで担う「基盤研究事業部」を整備し、また、医療研究開発革新基盤創成事業（CiCLE）を担う「革新基盤創成事業部」を新設。さらに、エビデンスベースの事業企画、事業マネジメント等の機能を目指すため、機構横断的な組織として、情報分析企画室を設置。
- 平成29年7月に、AMED全体の創薬シーズの横断的評価や戦略立案を行う体制を構築するため「創薬戦略部」を整備し、また、ICT、AIの基盤整備を担うICT基盤研究グループを臨床研究・治験基盤事業部に設置。
- 平成30年2月、統括役の業務に属する事業に係る横断的事項の企画立案及び調整に関することのうち、国際レビューア導入支援など統括役が指示した業務を行う事業統括室を設置。

⑥−2 内部公募による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）の制度を実施し、職員体制を強化。

⑥−3 研究者等からの該当事業等についての相談に更に丁寧かつ的確に応えるため、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）」をウェブサイトに開設（平成30年2月）。

Ⅰ（1）機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等
①医療に関する研究開発のマネジメントの実現

期間実績評価

① 研究開発プロジェクトマネジメントシステムの確立

①-2 プロジェクト連携シンポジウムの企画・開催

機構の各連携プロジェクトとの「縦横連携」の推進を目的に、平成27年度から平成30年度までに、計19回開催し、演者、PDPSPO、省庁、AMED職員を含む延べ2201名が参加し、連携の促進を図った。

平成27年度：革新的医療創出拠点と各連携プロジェクトとの「縦横連携」の推進を目的に、革新的医療技術創出拠点が、拠点の機能を活用した当該領域でのシーズ開発等の取組を紹介し、各連携プロジェクトからの実用化を検討している研究課題の発表をうけ、意見交換を行った。

テーマ	AMED担当課名	幹事拠点	開催日	参加者数
新興・再興感染症制御プロジェクト	感染症研究課 臨床研究課	九州大学	2015年11月6日 13:00-16:50	61
難病克服プロジェクト	難病研究課 臨床研究課	東北大学	2015年11月10日 13:00-18:10	83
再生医療の実現化ハイウェイ構想	再生医療研究課 臨床研究課	大阪大学	2015年11月17日 13:00-17:45	79
ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト	がん研究課 臨床研究課	国立がん研究センター 名古屋大学	2015年11月26日 13:00-17:45	101
脳とこころの健康大国実現プロジェクト	脳と心の研究課 臨床研究課	東京大学	2015年12月17日 13:00-16:30	65
オールジャパンでの医療機器開発	医療機器研究課 臨床研究課	北海道大学 東北大学	2016年1月28日 13:00-18:15	81
オールジャパンでの医薬品開発	医薬品研究課 臨床研究課	岡山大 慶應大	2016年2月1日 13:00-17:30	63
疾病克服に向けたゲノム医療実現化プロジェクト	基盤研究課 臨床研究課	京都大学	2016年2月9日 13:00-17:30	120

平成28年、29年度：革新的医療技術創出拠点プロジェクトと各連携プロジェクトおよび各連携プロジェクトの連携の推進を目的に、プロジェクト横断的、AMED（国内）全体が抱える課題や問題について、AMEDから抽出後、プログラムディレクターの御意見も伺いながらテーマを決め、プログラムディレクターや各先生方との総合討論を充実させた。

平成28年度：

テーマ	AMED担当課名	開催日	参加者数
実用化に向けての出口戦略を考える	がん研究課、再生医療研究課、医療機器研究課、感染症研究課、臨床研究課	2016年９月27日 13:00-17:00	192
国際共同研究・国際展開	がん研究課、難病研究課、感染症研究課、国際連携研究課、臨床研究課	2016/12/14 13:00-17:35	142
ゲノム情報の臨床研究への活用の今後の展開	基盤研究課、がん研究課、感染症研究課、国際連携研究課、臨床研究課	2016/12/19 13:00-17:15	193
患者レジストリ・データベース	難病研究課、医療機器研究課、がん研究課、脳とこころの研究課、基盤研究課、臨床研究課	2017/1/4 13:00-17:30	183

平成29年度：

テーマ	AMED担当課名	開催日	参加者数
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	研究企画課、臨床研究課	2017/12/15	120
実用化加速に向けて出口戦略を考える	医薬品研究課、知財部、臨床研究課	2017/12/21	177
若手研究者・人材育成（国際展開の視点を含む）	がん研究課、医療機器課、国際連携研究課、臨床研究課	2018/1/15	140

平成30年度：AMEDで取り組むべき横断的な課題について、骨太な構想を形成し、有機的な連携のもと推進していくために、平成30年度春の調整費で掲げた『骨太の取組』の課題において、さらに発展させる、あるいは連携分野間の今後の協調が特に必要なテーマとして4つに絞り、AMED職員ならびにPD･PS･POが率直な意見交換を行い、共通認識を醸成を図った。

テーマ	AMED担当課名	開催日	参加者数
遺伝子治療・ゲノム編集等の基礎・臨床研究基盤整備	がん研究課、事業統括室	2018/11/21	119
感覚器研究とQOL	医療機器研究課、産学連携課、脳と心の研究課、事業統括室	2018/11/28	78
認知症研究の更なる発展	難病研究課、医療機器研究課、バイオバンク課、事業統括室	2018/11/29	112
子どもの健全な成長・発達と疾患克服	脳と心の研究課、バイオバンク課、事業統括室	2019/1/23	92

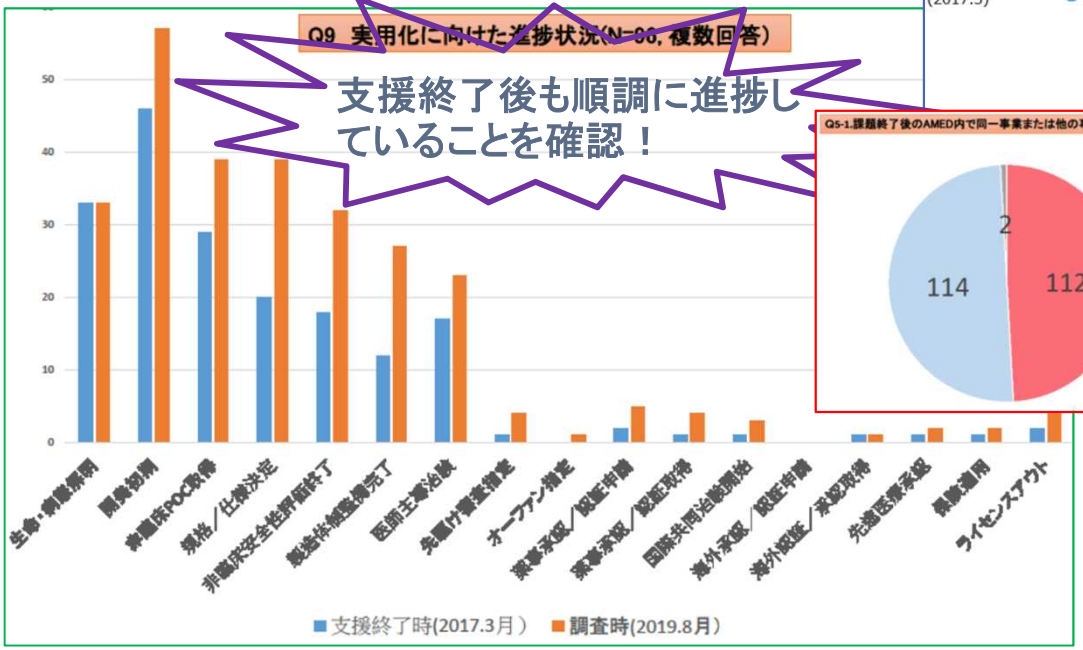
Ⅰ（1）機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等
①医療に関する研究開発のマネジメントの実現

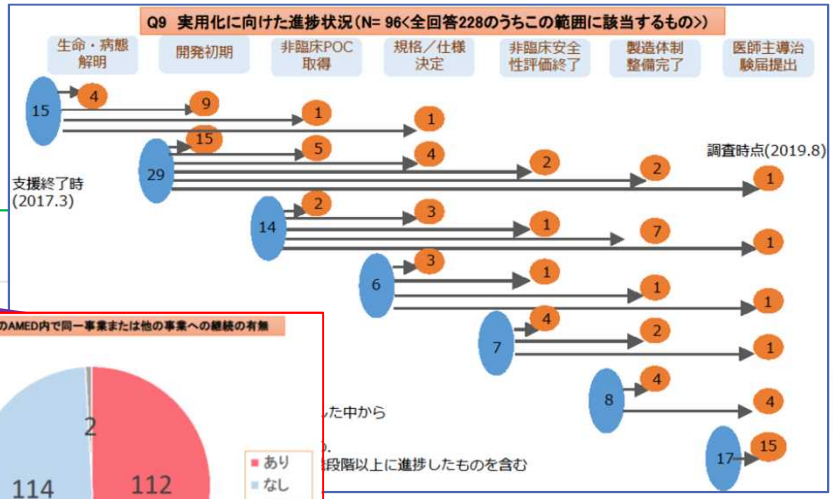
令和元年度評価　期間実績評価

① 研究開発プロジェクトマネジメントシステムの確立

①-3　実用化進捗情報調査の実施

- ファンディングの成果のうち、論文および知財については課題支援終了後も追跡可能となっているが、AMEDのミッションに照らして重要な、実用化に向けた進捗の状況や実社会へのインパクト等については、共通指標や把握手段が定まっていない。
- これら実用化進捗状況の把握の新たな仕組みのフィージビリティの検討のため、平成28年度に終了した課題のうち、生命・病態解明等を目指す課題及び医薬品、医療機器等の開発を目指す課題について、研究代表者を対象に調査を実施。
- 約半数から回答があり、235課題について集計、分析を行い、新たな研究費の獲得や開発フェーズの進捗などがみられることが分かった。
- 支援終了後も研究代表者へ直接確認することで、AMED内で把握できていなかった支援終了後のAMED内外での研究内容の継続もフォローアップすることができ、有用であった。また、今回の調査手法がフィージブルであることが確認できた。
- 集計結果概要の公表内容および来年度以降の実施について、検討中。







235人の研究者から回答



メール送付可能な412課題へ依頼



調査対象は433課題



H27年度終了779課題

Ⅰ（1）機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等
①医療に関する研究開発のマネジメントの実現

令和元年度評価

期間実績評価

③ 研究マネジメントチェック項目の策定・運用

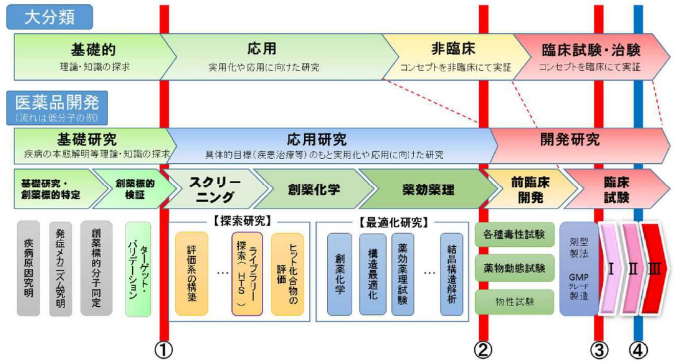
評価の共通基盤を構築するとともに、個別課題の進捗評価（Go/no-go判断）を重要なステージゲートにおいてより適切に行えるよう、平成29年度に、研究マネジメントチェック項目（医薬品）を作成しことに続き、平成30年度に、研究マネジメントチェック項目（医療機器）、研究マネジメントチェック項目（再生医療）を作成、運用を開始。研究マネジメントチェック項目（医薬品）について、運用を開始した平成30年度以降、医薬品の実用化に関する公募課題を有する17事業について活用し、同（医療機器）では医療機器の実用化に関する公募課題を有する2事業で運用し、同（再生医療）では1事業の公募で運用するなど定着を図った。

◆研究マネジメントチェック項目について（HP公開資料より）

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

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

研究マネジメントチェック項目（医薬品）

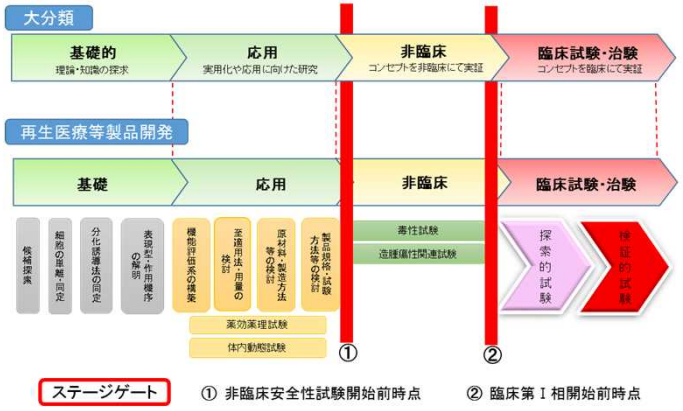


ステージゲート①：創薬標的検証終了時点
ステージゲート②：前臨床開発開始前時点
ステージゲート③：臨床第Ⅰ相開始前時点
ステージゲート④：探索的試験終了時点

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）



Ⅰ（1）機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等
①医療に関する研究開発のマネジメントの実現

令和元年度評価　期間実績評価

④ 国際レビューアの導入

課題事前評価における、国際レビューアの導入と、英語を用いた申請・評価のシステム構築に段階的に着手。

目的と期待される効果

・課題評価の質の一層の向上
  ・世界水準での課題評価
  ・COIによる評価者確保困難の克服
・日本の研究環境の国際化への貢献
  ・世界最先端の基礎研究への日本の研究者の参加促進
  波及効果として、日本国内の研究施設に在籍する外国人研究者の研究提案の促進等日本国内の多様な研究者の応募の可能性拡大
  ・多国籍・多施設の臨床研究への日本の研究者の参加促進

国際レビューアとは

・国外の施設に在籍する外国人または日本人専門家
・世界水準の研究を理解し、海外FAの課題評価を実施

導入方法

・公募要領→英文化
・申請者提出書類（特に科学的評価部分）→英文化
・書面評価に導入

平成30年度

・ AMED-CRESTを含む４事業４枠で先行実施

令和元年度

・１３事業１４枠に拡大（全事業部での導入）
・申請や評価体制の構築
  ・データベースを活用したレビューア候補者の探索の仕組み
  ・レビューア候補者への依頼等の手続きをオンラインで実施するためのシステム（AMED Reviewer Management System:ARMS)を構築
  ・ARS(AMED Online Project Review System)を活用した評価

※国際事業部では、平成28年度より連携相手国機関との協力を通じて、国際レビューアによる評価を導入済（平成30年度5事業、令和元年度5事業公募）

令和２年度(予定)

・１４事業１７枠に拡大
・AMEDレビューア登録用Webサイトの構築

Ⅰ（1）機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等
①医療に関する研究開発のマネジメントの実現

令和元年度評価

期間実績評価

④－2　データマネジメントプランの作成

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

平成30年度5月の新規課題より義務化した『**データマネジメントプラン**』提出を令和2年度課題からは全課題に対象を拡大した。

データマネジメントプランは、**どの研究開発課題で、どんなデータが産出され、誰がどこに保有しているのか**を記載するものである。

- ✓ 併せて、基本的なデータ管理を進める上で必須となる**データサイエンティスト**等を記載する。
- ✓ ＡＭＥＤがデータの所在等を把握することにより、マネジメント機能または触媒機能を強化し、可能な範囲で**異なる研究開発課題間での連携促進**や二重研究開発の回避等に役立てる。
- ✓ 副次的な効果として、研究コミュニティでデータを適切に整理・体系化する文化が醸成されることにも期待する。

④－3　データサイエンティストの公表

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

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

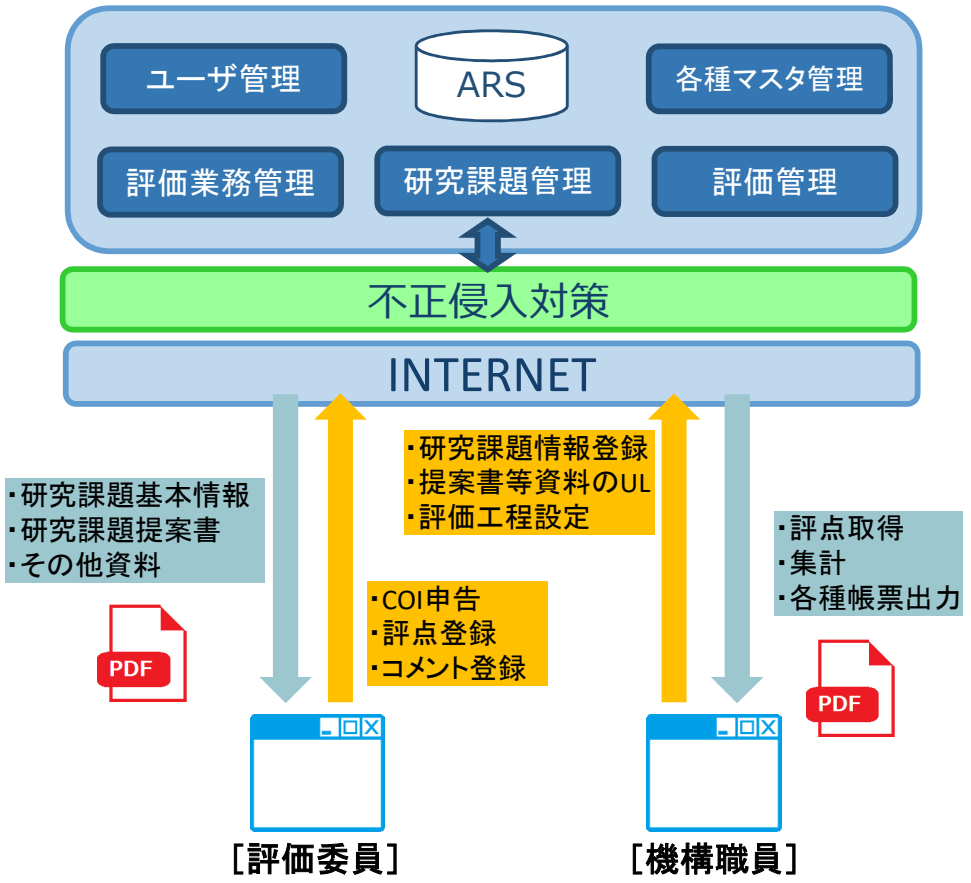
Ⅰ(1)AMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等
①医療に関する研究開発のマネジメントの実現

令和元年度評価
期間実績評価

⑤ AMEDオンライン課題評価システム（ARS）、AMED研究開発マネジメントシステム（AMS）の整備と運用

⑤−1 ARSの整備と運用

- AMED職員、課題評価委員双方の利便性向上、業務の合理化・効率化を目的としたAMEDオンライン課題評価システム（ARS）の運用を30年度より開始
- 課題情報の登録や関連ファイルの添付等にe-Radの応募課題情報ファイル(csv形式)や添付資料を利用し、機構職員の作業を効率化
- オンラインによるCOI申告、評価の入力を可能にし、これにより評点の集計を自動化
- **令和元年度改修にてCOI申告を厳密化。研究提案書の閲覧可否を厳格に管理**
- 評価関連資料をオンラインで閲覧可能にし、従来のメールによる送付に比較し機構職員の作業量軽減、情報セキュリティインシデント発生リスクの低減に寄与。
- 利益相反総括表や結果集計表等の資料作成支援
- 公募開始から通知・公表までの一連の工程管理
- 利用者の端末環境を識別し、日・英二か国語を自動切替え。国際レビュアーにも対応。
- 令和元年度よりAMSとのデータ連係を実現。採否決定からAMSで**課題検索可能となる期間の短縮に貢献**



ARS利用者数（R2.3末現在）

	評価委員	機構職員
利用者数	1,302名	289名

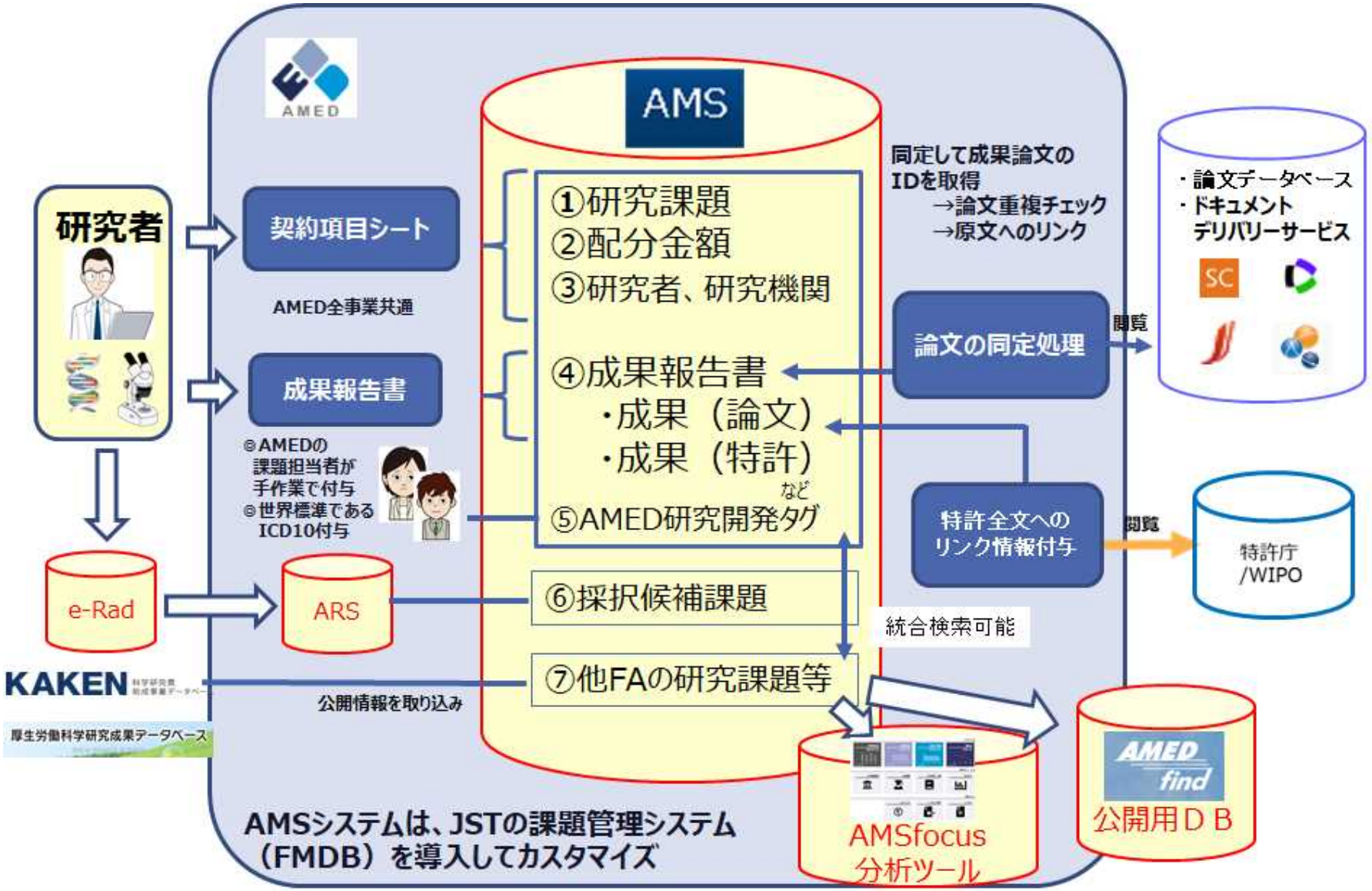
ARS累計利用実績（R2.3末現在）

	事前評価	中間評価	事後評価
委員会数	269	94	181
課題数	8,071	636	1,489

Ⅰ(1)AMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等
①医療に関する研究開発のマネジメントの実現

⑤ AMEDオンライン課題評価システム（ARS）、AMED研究開発マネジメントシステム（AMS）の整備と運用

⑤−2 AMED研究開発マネジメントシステム（AMS）の整備と運用



Ⅰ（1）機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等
①医療に関する研究開発のマネジメントの実現

期間実績評価

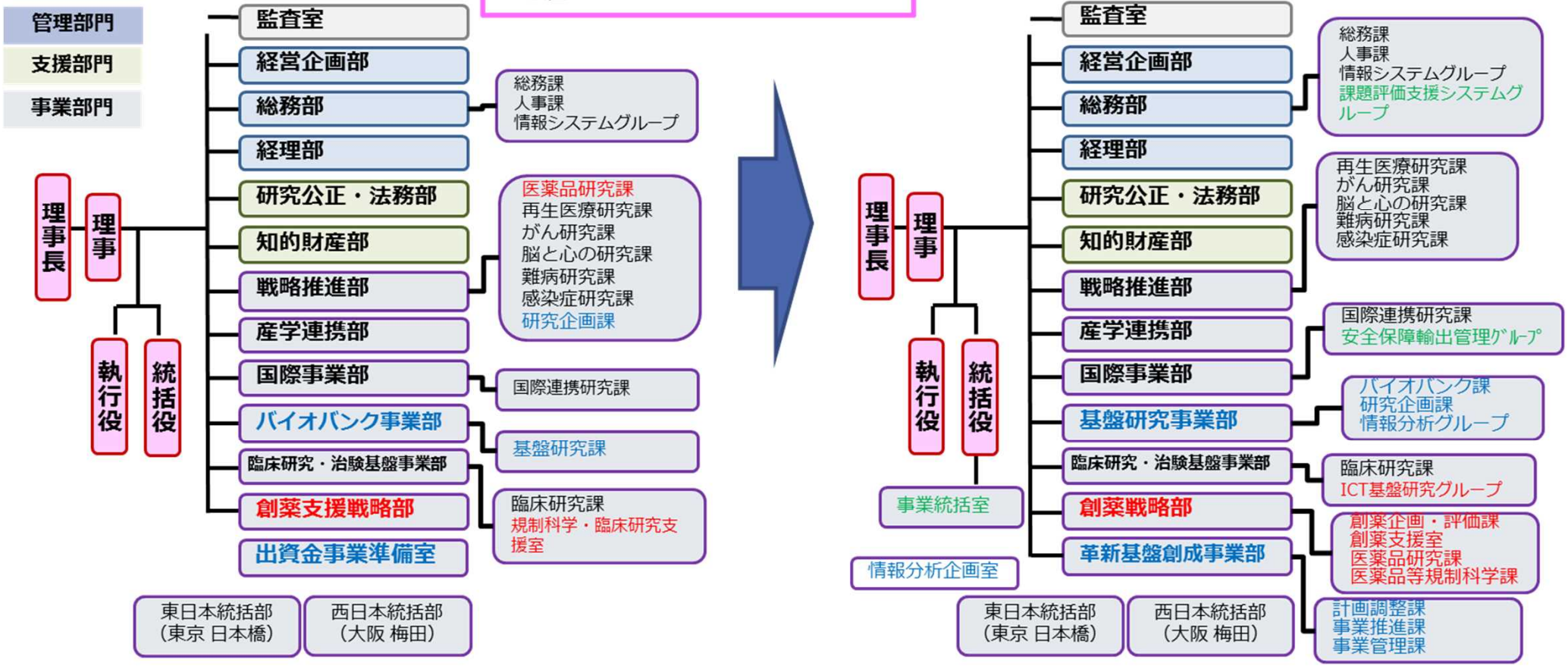
⑥ AMEDの機能強化のための組織改編等

⑥-1 組織改編

平成29年4月の組織改編（青字部分）
- ○ 基盤研究の関係課を集約し、基盤研究を横割りで担う基盤研究事業部を整備。
- ○ 医療研究開発革新基盤創成事業（CiCLE）を担う革新基盤創成事業部を新設。
- ○ AMS＊を構築し、エビデンスベースの事業企画、事業マネジメント、施策提案等の機能を目指すため、機構横断的な組織として、情報分析企画室 （統括役が室長）を設置。*AMS:AMED研究開発マネジメントシステム

平成29年7月の組織改編（赤字部分）
- ○ 「オールジャパンでの医薬品創出」プロジェクトの関係課室の集約・一体化を図るとともに、同プロジェクトと他のAMED事業との連携を進め、AMED全体の創薬シーズの横断的評価や戦略立案を行う体制を構築するため、創薬戦略部を整備。
- ○ ICT、AIの基盤整備を担うICT基盤研究グループを臨床研究・治験基盤事業部に設置。

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



Ⅰ（1）機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等
①医療に関する研究開発のマネジメントの実現

期間実績評価

⑥ AMEDの機能強化のための組織改編等

⑥-3 ワンストップサービスAReCの開設

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

AMEDのHP画面より（一部抜粋）

相談の流れ

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

   ・ 事業および研究分野一覧 PDF

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

   ・ 事業紹介ページ

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

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

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

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

Ⅰ（1）機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等
①医療に関する研究開発のマネジメントの実現

令和元年度評価　期間実績評価

AMED

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

■　研究・経営評議会に関しては、令和元年度第１回会合を令和元年6月3日に、第２回会合を6月14日に開催した。アドバイザリーボードに関しては、令和元年度第１回会合を令和2年3月30日に開催した。それぞれの回において、機構の取組や課題について説明し、委員から様々な意見やニーズを聴取した。AMEDオンライン課題評価システム（ARS）、AMED研究開発マネジメントシステム（AMS）の整備と運用、「AMEDぷらっと」・AMEDによる知的財産取得に向けた研究機関への支援、創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業（BINDS）、国際レビューアに関する意見等をいただきその後の取組を推進した。研究・経営評議会が行った外部評価については、各部において指摘事項に対するアクションプランを策定し実行に向け対応し、着実に実施した。

評価軸　国内外の動向を把握、評価し、テーマを抽出するための専門家によるシンクタンク機能を備えたか。

■　医療研究開発の現場のシーズやニーズについては、PS・PO及び機構職員によるサイトビジットによる研究者等からの直接聞き取りを行うなど、各部各課においてシーズ・ニーズ把握とその活用に向けた取組が行われており、こうした取組により、研究機関等との連携を進めている。

■　課題支援終了後の実用化進捗状況の把握のための仕組み検討のため、平成31度の試行的実施に結果等を踏まえて、令和元年度は、平成28年度終了課題のうち、生命・病態解明等を目指す課題及び医薬品・医療機器等の開発を目指す課題を対象に実用化進捗情報についての調査をWebアンケートにて実施。

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

■　AMED研究開発マネジメントシステム（AMS）に関して、令和元年度にはAMEDオンライン課題評価システム（ARS）との連携による課題情報の速報性の向上を図り、課題採択時の重複チェックへの活用を可能とした。AMSにPubMed型の用語辞書によるキーワードや分類コードを全課題に付与し索引付けを行い分析手法の高度化につなげ、また、研究開発タグの改訂、次期中長期計画に関するタグの付与方法等に取り組んだ。

■　診療ガイドライン等に記載された臨床現場ニーズをエビデンスとして活用する試行着手した。

■　16機関が実施している研究開発課題を統合するデータベースについて試行した。

Ⅰ（1）機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等
①医療に関する研究開発のマネジメントの実現

令和元年度評価　期間実績評価

AMED

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

■「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。

■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。中間・事後評価については二軸の視点で評価することを基本として見直し案を策定した。また、PDPSPOと評価委員会との関係も整理し、中間・事後評価にPDPSPOが委員として参加すべきかどうかについても検討を行った。

■更なる評価の質の向上を図るため、公募の評価プロセスにおける国際レビューアの導入について、平成30年度事業の一部4事業4領域で先行的に導入、令和元年度事業では13事業14領域、令和2年度事業では14事業17領域へ対象を拡大した。

■平成29年度に作成した研究マネジメントチェック項目（医薬品）に続き、平成30年度においては、研究マネジメントチェック項目（医療機器）、同（再生医療）を作成し、運用を開始したが、平成31（令和元）年度は、医薬品の実用化に関する公募課題を有する9事業（260課題）について、事業を担当する部及び課と連携し実際に、研究マネジメントチェック項目（医薬品）についてその運用を行った。

■平成29年度に研究マネジメントチェック項目（医薬品）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）、同（再生医療）を作成し、運用を開始した。令和元年度「再生医療実用化研究事業」等の関連事業の中間評価や事前評価等で活用することにより、プロジェクトの運営や事業間連携を強化した。

＜モニタリング指標＞事前評価委員会の設置数　事前評価委員会の開催回数

	平成27年度	平成28年度	平成29年度	平成30年度	令和元年度
事前評価委員会の設置数	46件	90件	84件	83件	85件
事前評価委員会の開催回数	81回	116回	123回	135回	127件

Ⅰ（1）機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等
①医療に関する研究開発のマネジメントの実現

令和元年度評価　期間実績評価

AMED

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

■　PD・PS・PO体制によるプロジェクトマネジメントを確立。実地調査や領域会議、班会議等を通じた進捗管理、研究者への指導・助言の実施など採択から事後評価まできめ細かな事業管理を実現。

（例１）創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業(BINDS)において、支援進捗管理に報告システムを導入し、PSPOが進捗状況を即時に把握、事業内連携／重点化に適した課題を新たに７課題認定。

（例２）次世代がん医療創生研究事業において、研究室単位の対応が難しい技術支援を実施するため、研究者とのマッチング会議等を通じて、研究支援班による最適かつ効果的な技術支援を行い、シーズ育成の成果創出を実現。

（例３）医療研究開発革新基盤創成事業(CiCLE)では、オールAMEDの観点から、PS･POの下、機構内関連部署、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)等を加えたチームによる総合的コンサルテーションを行うことで、効果的かつ効率的な課題運営を支援。

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

＜モニタリング指標＞PD･PS･PO会議実施回数

	平成27年度	平成28年度	平成29年度	平成30年度	令和元年度
PD･PS･PO会議実施回数	239回	285回	267回	283回	242回

Ⅰ（1）機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等
①医療に関する研究開発のマネジメントの実現

令和元年度評価　期間実績評価

AMED

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

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

＜モニタリング指標＞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

	平成27年度	平成28年度	平成29年度	平成30年度	令和元年度
研究費の効果的運用に関する計画変更数及び契約変更数	471回	795回	846回	734回	850回

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

■　課題評価において、その俯瞰・分析につなげるため、各事業で異なっていた評価手法の共通化を図るため、平成28年度に導入した１０段階共通評価システムについて、平成29年度から各事業で実施した。

■　国際水準での評価等を目指し、平成29年6月26日に課題評価英語化タスクフォース（TF）及び同タスクフォースの下にワーキンググループ（WG）を設置することとし、その後、英語化を優先して進めるべき対象事業や事前評価プロセスの英語化及び在外外国人評価委員の導入等について検討を実施した。（TF：4回開催、WG:9回開催）検討の結果、既に実施中の国際事業部における経験も踏まえて、国際レビューアと公募・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年度事業の一部4事業4領域で先行的に導入、令和元年度事業では13事業14領域、令和2年度事業では14事業17領域へ対象を拡大した。

Ⅰ（1）機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等
①医療に関する研究開発のマネジメントの実現

期間実績評価

「追加指標」について

令和元年度の業務の実績評価において対象とする指標等については、AMEDとして積極的に説明責任を果たしていく観点から、成果指標（KPI）、関連する評価指標及びモニタリング指標に加え、以下の項目を「追加指標」として設定し、調査を行った。

＜追加指標＞

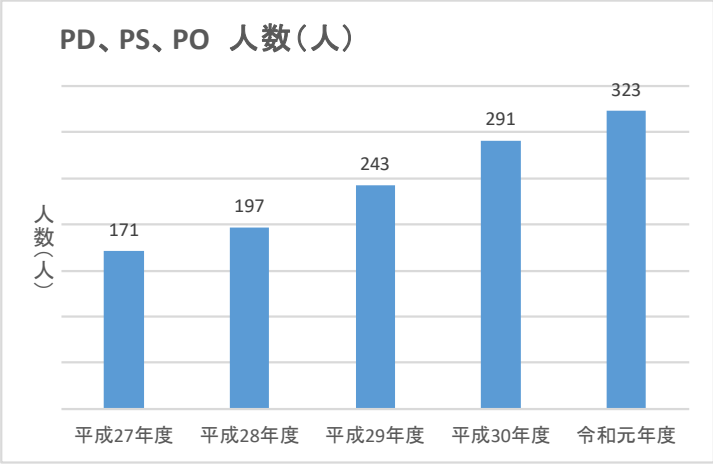
(1) PD・PS・POの状況（人数、年齢分布、所属機関、女性割合）
(2) 課題評価委員の状況（人数、年齢分布、所属機関、女性割合）
(3) 採択課題の研究代表者の状況（研究代表者数、年齢分布、所属機関、女性割合）
(4) 研究課題終了後のAMED内の他事業への継続状況
(5) 産学連携、産産連携の状況
(6) 異なる分野・領域等の研究者・チームによる協業・連携の状況
(7) 知的財産権の出願状況
(8) プレスリリースの状況
(9) 研究参加者の状況

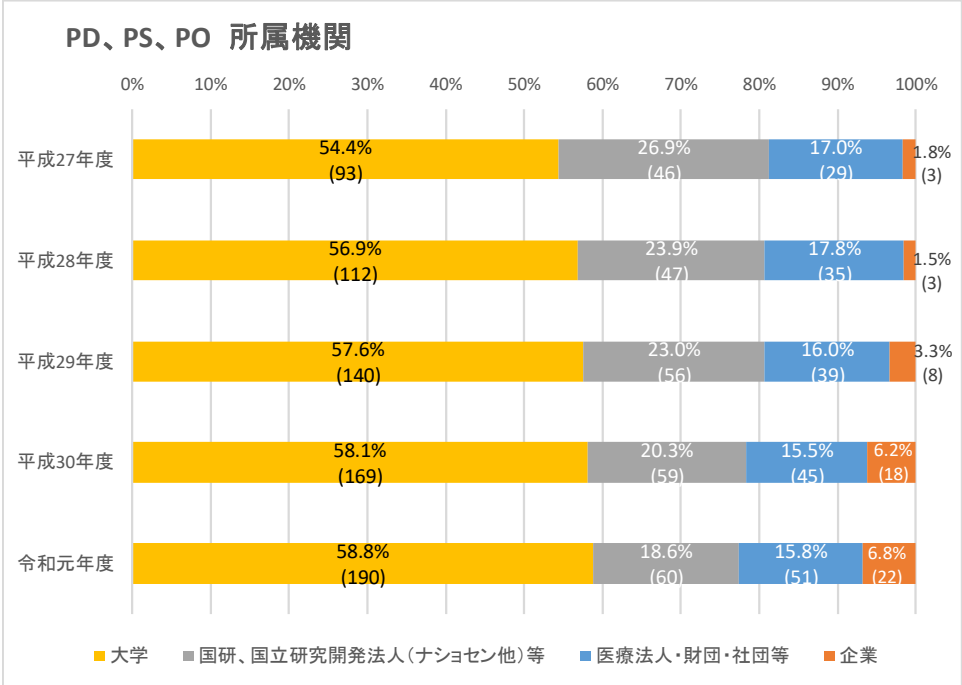
Ⅰ（1）機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等
①医療に関する研究開発のマネジメントの実現

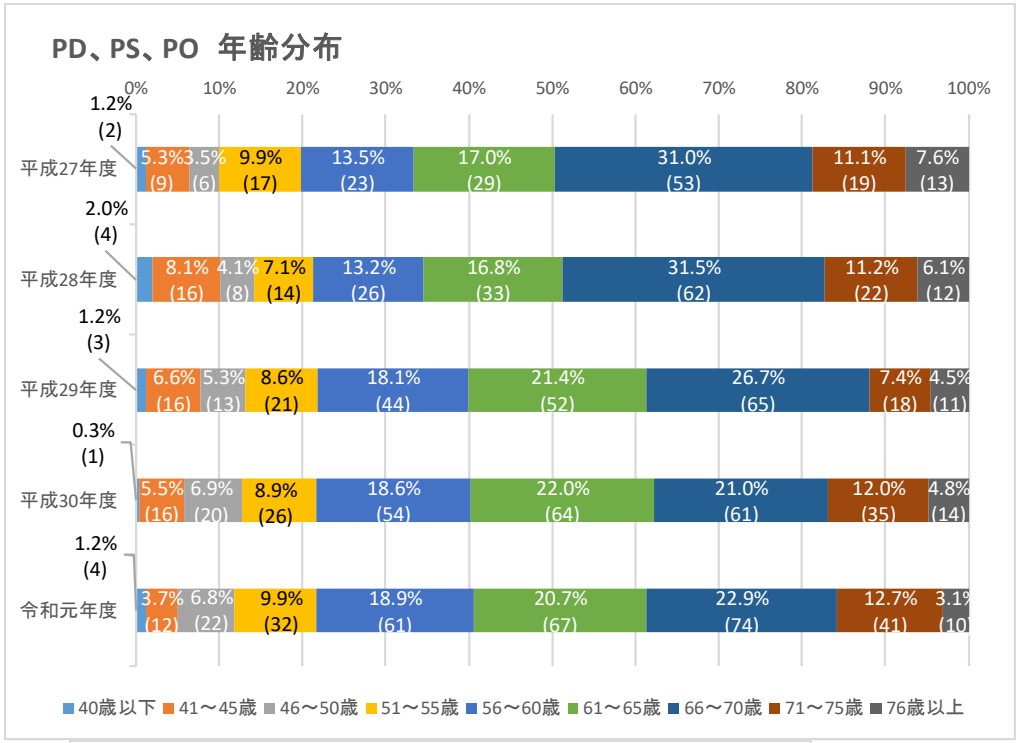
期間実績評価

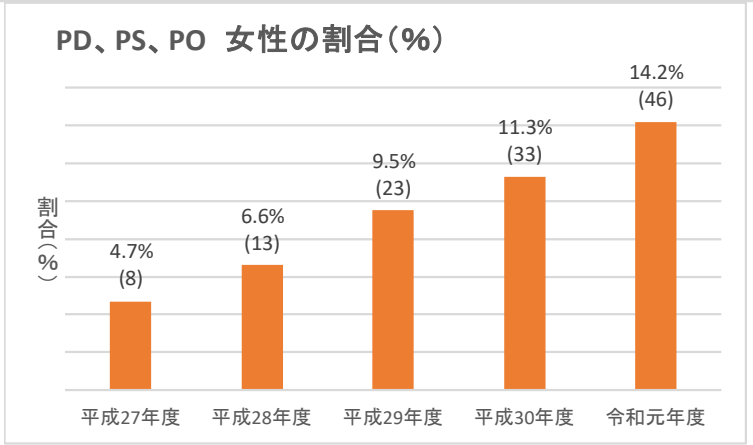
(1) PD・PS・POの状況（人数、年齢分布、所属機関、女性割合）

AMED創設以降、適切な人材を積極的に登用し、全体の人数は約1.9倍に増加。年齢分布では60歳以下の割合が増加傾向であり、66～70歳の割合が減少傾向。所属機関は「企業」の割合が増加傾向。女性の割合は増加傾向。









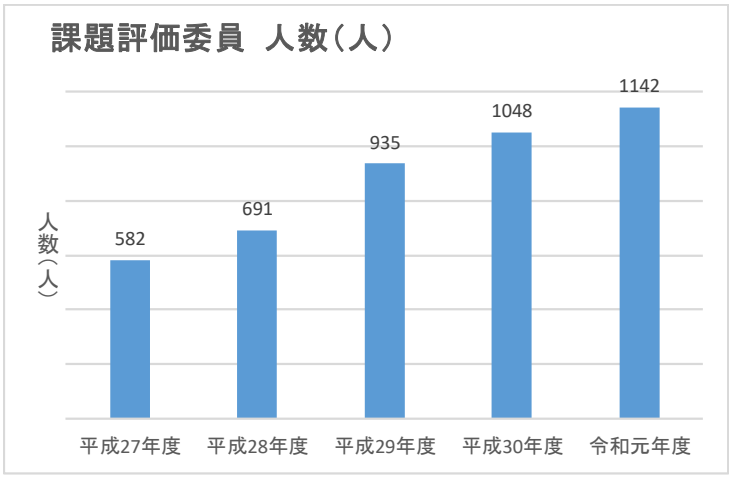
（備考）
・人数、所属機関、年齢分布、女性の割合について、兼務者は1名としてカウント。
・各グラフの括弧内は人数を記載。

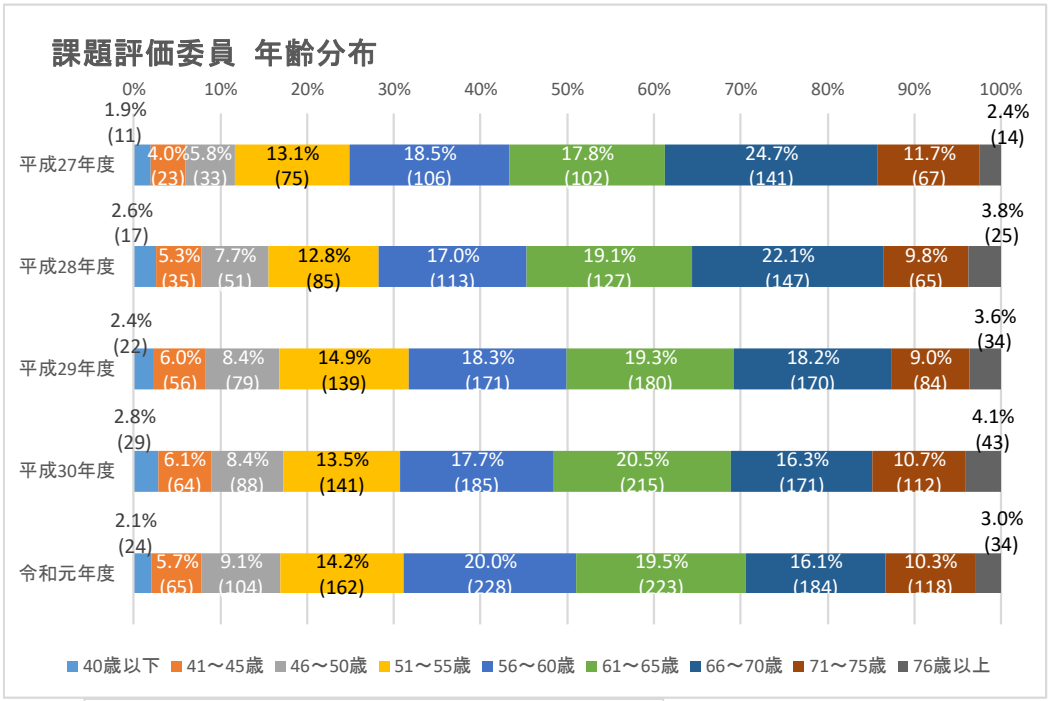
Ⅰ（1）機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等
①医療に関する研究開発のマネジメントの実現

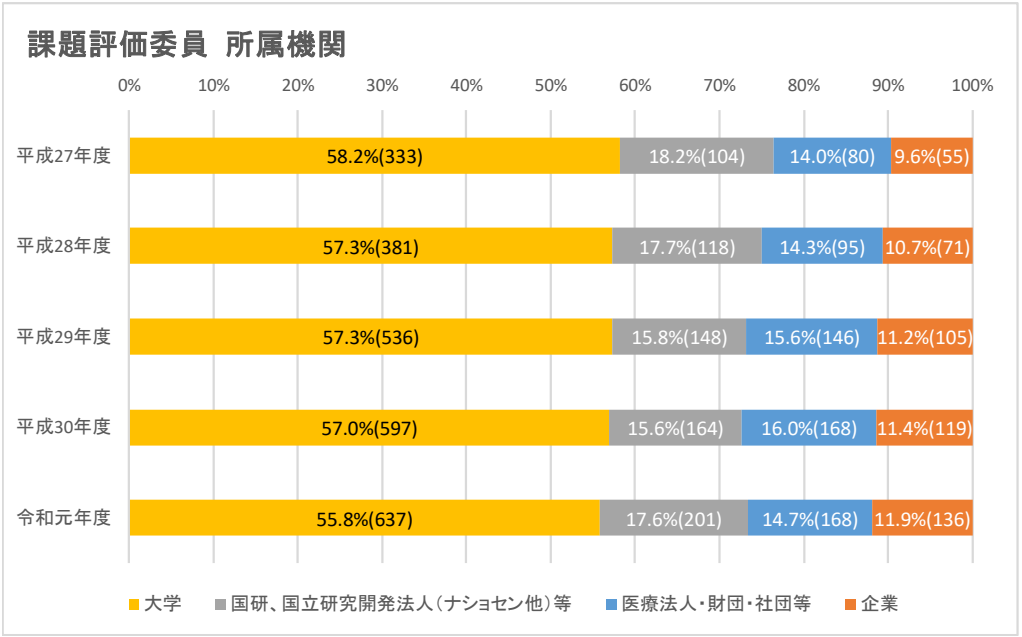
期間実績評価

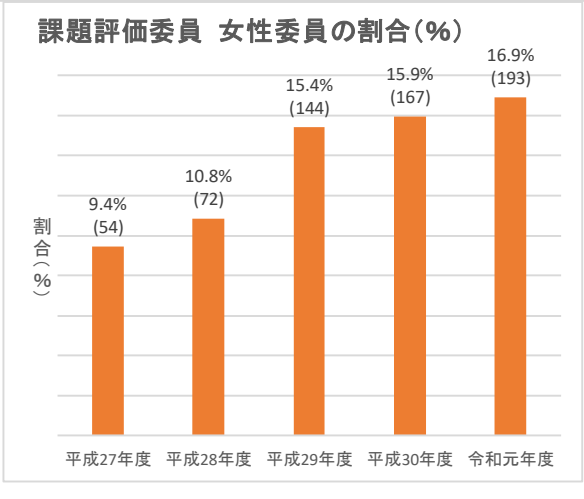
(2) 課題評価委員の状況（人数、年齢分布、所属機関、女性割合）

課題評価委員の選任に当たり多様性に配慮。評価委員数は約2倍に増加。年齢分布は大きな変化はなし。所属機関では「企業」の割合が増加傾向。女性の割合は増加傾向。









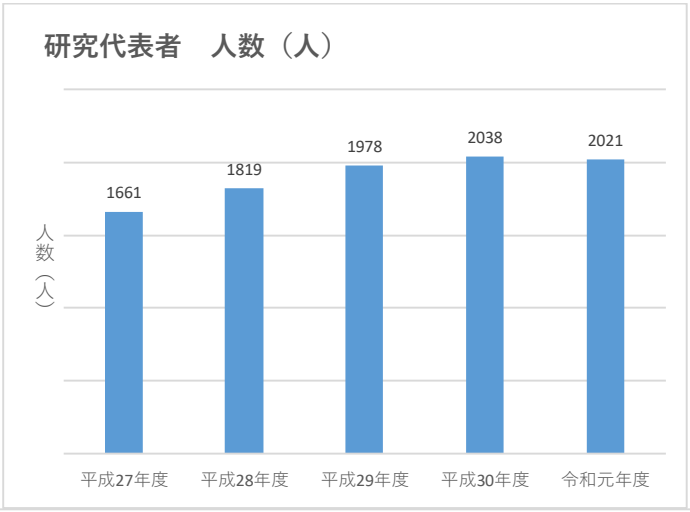
（備考）
人数、所属機関、年齢分布、女性の割合について、
・複数の委員会委員を兼務する者は１名としてカウント。
・所属機関、年齢分布、女性委員の割合については、属性不明者を除く。
・各グラフの括弧内は人数を記載。

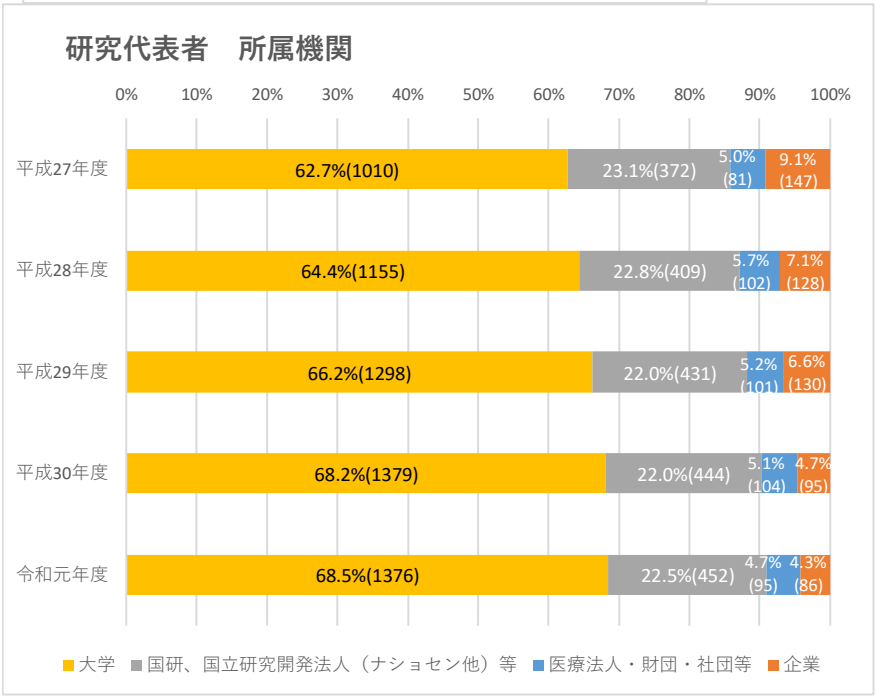
Ⅰ（1）機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等
①医療に関する研究開発のマネジメントの実現

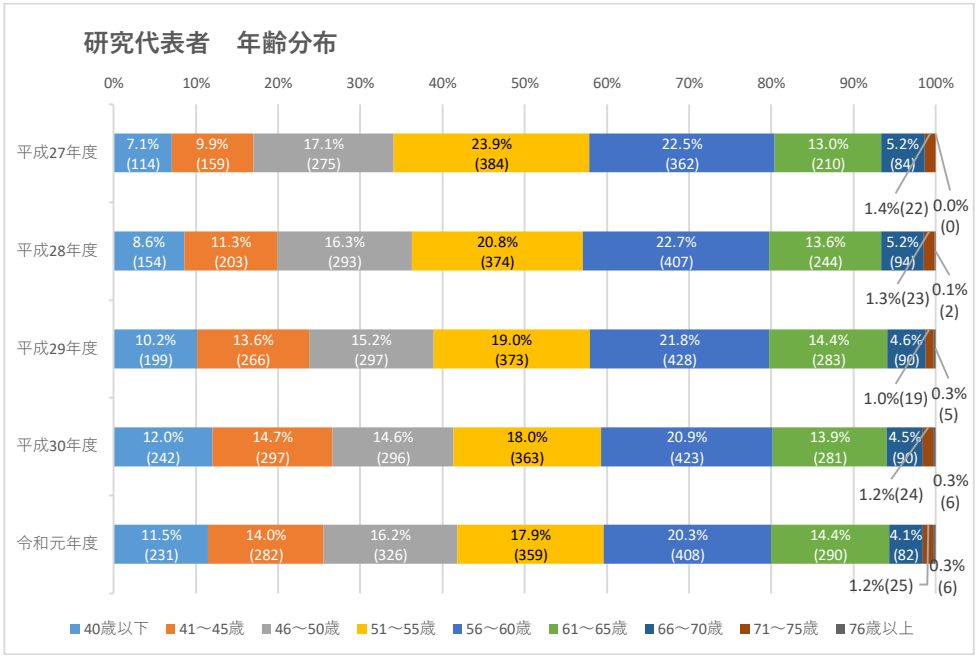
期間実績評価

(3) 採択課題の研究代表者の状況（研究代表者数、年齢分布、所属機関、女性割合）

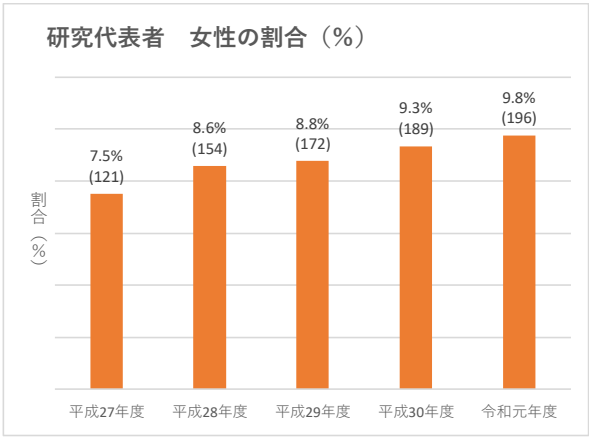
研究代表者数について、年齢分布は若手育成枠の設定・推進により50歳以下の割合が増加傾向。所属機関は大学の割合が増加傾向。女性の割合は緩やかに増加。







※「競争的研究資金制度改革について（意見）」平成15年4 月21日 総合科学技術会議（抄）
○ 我が国の競争的研究資金制度の改革は、以下の基本的視点に立って推進する。
- 研究者間、研究機関間の競争の一層の促進、若手研究者の活性化を図る。



（備考）
年齢分布、所属機関、女性の割合について、
・複数課題の研究代表者を兼務する者は1名としてカウント。
・所属機関、年齢分布、女性の割合については、属性不明者を除く。
・各グラフの括弧内は人数を記載。

Ⅰ（1）機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等
①医療に関する研究開発のマネジメントの実現

期間実績評価

AMED

(4) 研究支援終了後のAMED内の他事業への継続

平成27～30年度に終了した研究課題のうち、AMEDの他の事業に応募・採択され、研究開発が継続した事例件数は計201件。

（主な事例）

・革新的先端研究開発支援事業[文] → 再生医療実現拠点ネットワークプログラム[文]、
難治性疾患実用化研究事業[厚]、
先進的医療機器・システム等技術開発事業[経]、
革新的がん医療実用化研究事業[厚] 等 （27件）

・再生医療実現拠点ネットワークプログラム [文] → 再生医療実用化研究事業[厚]
難治性疾患実用化研究事業[厚] （21件）

・次世代がん医療創生研究事業[文] → 革新的がん医療実用化研究事業[厚] （44件）

・オーダーメード医療の実現プログラム[文] → ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業[文] （11件）

・革新的バイオ医薬品創出基盤技術開発事業[文] → 産学連携医療イノベーション創出プログラム（ACT-M、ACT-MS）[文]
難治性疾患実用化研究事業[厚] （3件）

・医療機器開発推進研究事業、難治性疾患実用化研究事業[厚] → 医工連携事業化推進事業[経] （8件）
未来医療を実現する医療機器・システム研究開発事業[経]、
先端計測分析技術・機器開発プログラム[文] 等

・革新的バイオ医薬品創出基盤技術開発事業、産学連携医療イノベーション創出推進プログラム（ACT-M）[文] 等 → 医療研究開発革新基盤創成事業（CiCLE）[内] （15件）

（凡例）[文]・・・文部科学省事業 [厚]・・・厚生労働省事業 [経]・・・経済産業省事業 [内]・・・内閣府事業

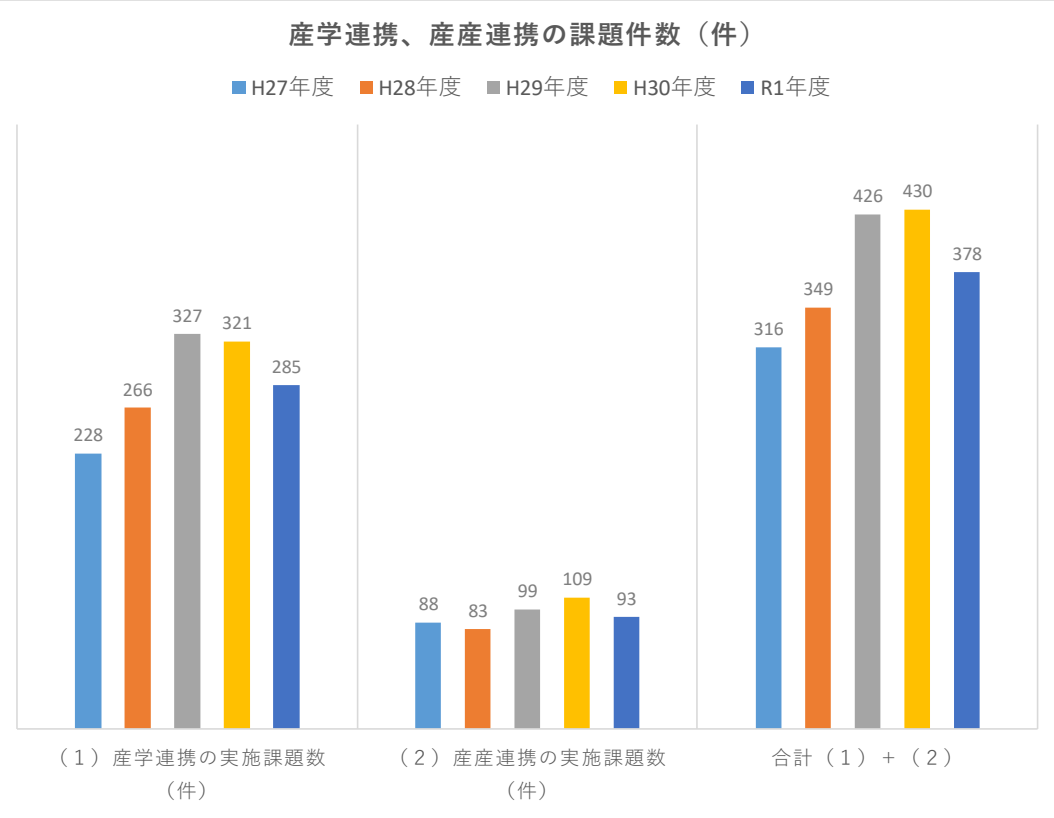
Ⅰ（1）機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等
①医療に関する研究開発のマネジメントの実現

期間実績評価

AMED

(5) 産学連携、産産連携の状況

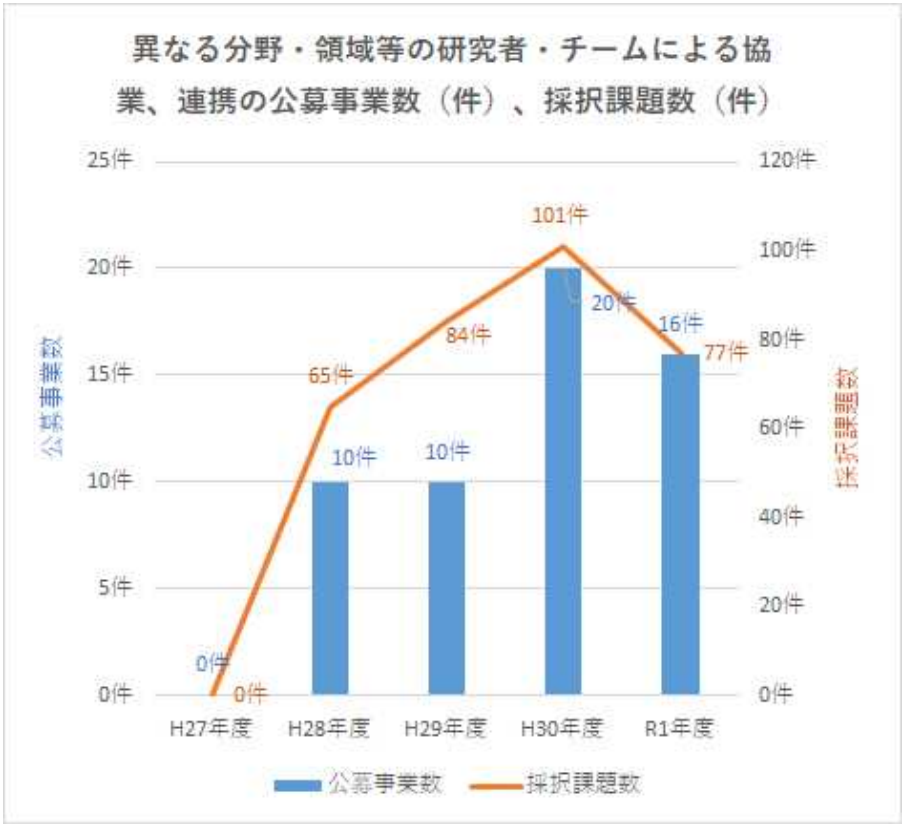
産学連携、産産連携について、平成27年度以降、着実に実施。産学連携の課題数は300件前後で推移、産産連携の課題数は90件前後で推移。



（備考）
・産学連携は、単一の課題において、代表機関、分担機関等の中に企業と大学が含まれる課題をカウント。
・産産連携は、単一の課題において、代表機関、分担機関等の中に複数の企業が含まれる課題をカウント。
・なお、産学連携と産産連携の両方に該当する課題は産産連携にカウント（産学連携にはカウントしていない）。

(6) 異なる分野・領域等の研究者・チームによる協業・連携の状況

異なる分野・領域等の研究者・チームによる協業、連携を条件とした公募事業について、平成27年度は0であったが平成28年度以降、毎年度実施した。



（主な事例）
・医工連携事業化推進事業
医療現場が抱える課題に応える医療機器について、ものづくり技術を活かした開発、事業化を推進するため、ものづくり技術を有する中小企業、製造販売企業、医療機関より構成される共同体により事業実施。
・再生医療実現拠点ネットワークプログラム
幹細胞・再生医療分野におけるイノベーション創出に資するIT連携、イメージング法、数理モデル、医工学等異業種連携を有する研究を重視。

(7) 知的財産権の出願状況

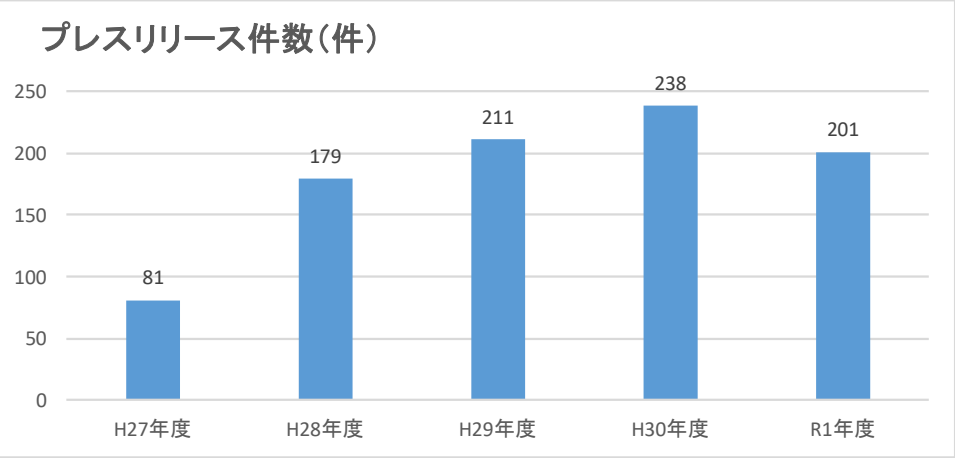
AMED支援課題における基礎出願件数は毎年300件前後で推移。

知的財産権の種類	基礎出願年度（※1）					
	H27年度	H28年度	H29年度	H30年度	R元年度	合計
特許（出願数）	261	352	353	334	230	1530
意匠（出願数）	5	12	5	7	0	29
育成者権（出願数）	0	0	1	0	1	2
総計	266	364	359	341	231（※2）	1561

※1　知財権の出願は、国毎に別の出願を行うこととなるが、各国への出願の大元となる出願（これを「基礎出願」という。）を行った年度で集計。例えば、平成27年度に日本に基礎出願して、米国に平成28年度に出願したケースは、平成27年度の基礎出願として集計。
※2　令和元年4月～令和2年1月までの10ヶ月分の集計値。令和2年2、3月の実績については令和2年6月に把握等を行う予定。

(8) プレスリリースの状況

プレスリリース件数は概ね増加傾向。



※AMEDウェブサイトに掲載した件数。

※令和元年度のプレスリリース201件について、研究成果の公表が178件程度、その他は、臨床研究等の開始、薬事承認の取得、AMED医療分野の研究開発関連の調整費の配分、AMED理事長賞受賞者の公表等。

(9) 研究参加者の状況

平成30年度終了課題、令和元年度終了課題における研究参加者は合計延べ約１１２万人。

■ 平成30年度終了課題 研究参加者数

単位：人

研究参加者内訳					合計
被験者※1	バイオバンクへのサンプル提供者	コホート調査への参加者※2	アンケート参加者	その他	
137,329	48,997	64,078	14,695	7,410	272,509

■ 令和元年度終了課題 研究参加者数

単位：人

研究参加者内訳					合計
被験者※1	バイオバンクへのサンプル提供者	コホート調査への参加者※2	アンケート参加者	その他	
181,199	6,814	630,102	19,923	7,933	845,971

※1 本調査における「被験者」は、「医師主導治験、臨床試験（介入研究）、企業治験（AMED事業の経費で実施しているもの）などを受けている方を指す。

※2 令和元年度終了課題においては、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ける大規模コホート調査を含む（1課題で360,000人、別の課題で110,000人の参加者）。
また、平成30年度終了課題及び令和元年度終了課題において、東北メディカル・メガバンク機構が実施するコホート調査の参加者については、本事業が令和元年度以降も継続する課題のため、本欄には含まれていない。

Ⅰ（1）機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等
②研究不正防止の取組の推進

令和元年度評価

評定（自己評価）	
B	① RIOネットワークでの連携拡大やメールマガジンを利用したアンケート実施により加盟機関の声を吸い上げ教材作成時に要望を反映、研究公正に関するヒヤリ・ハット集の刊行及び不正行為等事例集（ケースブック）の普及、研究公正高度化モデル開発支援事業（第二期）の実施、研究倫理ホームページのコンテンツの充実、研究公正セミナーの開催など、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に強力に推進するとともに、 ② 規則等の適正化とその周知、事業部門との密接な連携による不正対応と制度の整備を実施するなど、所期の目標を達成した。 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る。

①ノウハウの蓄積と専門的人材育成の取組

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

- 昨年度までは、講演会の案内や教育研修教材の紹介など多くが一方向の情報提供であったが、メールマガジンを利用してアンケート調査やヒヤリ・ハット集の事例収集を行うことにより、RIOネットワークの加盟機関の声を吸い上げ、要望を反映させた教材作成に結びつけることができた。

①-2 ケースブック

- 研究を進めるにあたって、何らかの理由のために不適切な研究行為をしてしまおうか悩みながら思いとどまった例や、周りの人にそれは不適切な行為だと指摘されて不正をせずに済んだ例を31例集めた「研究公正に関するヒヤリ・ハット集」を令和2年3月に刊行した。
- 前年度までに作成した「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～」の「普及版」を約900部、「考え方例集」を約350部配布した。

①-3 研究倫理教育に関するモデル教材・プログラム開発等

- 平成28年～30年度の研究公正高度化モデル開発支援事業（第一期）での成果物の効率的な利用を図るために第二期の公募を行い、7課題を採択し、5月から第二期の事業を開始した。

①ノウハウの蓄積と専門的人材育成の取組(続き)

①-4 研究倫理ホームページ

- 利益相反管理に関するe-ラーニング教材や補助教材を5月に掲載するなど、コンテンツの充実を図った。

①-5 セミナー

- 令和2年1月14日に福岡で、2月5日に東京で研究公正セミナー『専門家から見た研究データ ～適切なデータ処理を行うためには～』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163名だった。

②研究公正の啓発活動の推進及び体制の整備

②-1 契約書、規則書等の整備と周知

- 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、研究者や事務担当者等に対してHPで周知を行った。
- 事業の採択者説明会等で研究公正に関する説明を3回行った。
- 研究機関からの要望に応じ、出前説明会を2回実施した。

②-2 事業部門との連携

- 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、フロー等について必要な見直しを引き続き行うとともに、機構内での業務手順等を示す不正対応マニュアル(平成31年3月)の認識を共有し、体制の整備を行った。

Ⅰ（1）機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等
②研究不正防止の取組の推進

期間実績評価

評定（自己評価）
B

① RIOネットワークによる積極的な情報交換、不正行為等事例集（ケースブック）の普及、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により、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に強力に推進するとともに、

② 規則等の適正化とその周知、事業部門との密接な連携による不正対応と制度の整備を実施するなど、所期の目標を達成した。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る。

	H27	H28	H29	H30	R1	見込	期間
自己評価	B	B	A	B	B	B	B
主務大臣評価	B	B	A	B		B	

①ノウハウの蓄積と専門的人材育成の取組

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

研究機関の研究公正関係者は組織内において、連携・協力関係が希薄な存在になりがちなところ、AMEDがそのような立場の者を横断的に結びつけ、気軽に情報交換ができる場を提供すべく、平成29年7月に『RIOネットワーク』を構築した。同年9月から現在も毎週メールマガジンを配信し、また、同年11月29日には、東京でキックオフシンポジウム（一般参加者は320名）を開催した。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。平成31年2月6日に東京で研究公正シンポジウムを開催。RIOネットワークの構築とシンポジウム開催の相乗効果により、研究倫理教育教材の普及が進められた。

RIOネットワーク参加者（令和2年3月末現在：約900機関、約2,700名）。

①-2 ケースブック

主に医療分野における研究不正事例を集めたケースブックとして、ディスカッション形式を想定し、実例をもとにした効果的な教育教材として「普及版」（平成30年3月：3,100部）、その設問の標準的な考え方をまとめた「考え方例集」を刊行（平成31年3月：350部）、また、何らかの理由のために不適切な研究行為をしてしまおうか悩みながら思いとどまったり、不正をせずに済んだ例を集めた「研究公正に関するヒヤリ・ハット集」を令和2年3月に刊行し、令和2年度に配布予定。

①-3 研究倫理教育に関するモデル教材・プログラム開発等

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

①-4 研究データの質向上の指導者育成プログラム開発等

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、今後全国各地で研修会を開催する。

①ノウハウの蓄積と専門的人材育成の取組(続き)

①-5 研究倫理ホームページ

主に臨床研究法や研究倫理指針を適用して実施される研究開発に携わる者に対して、研究倫理に関する諸情報を集約した「研究倫理ホームページ」を平成30年5月に公開した。

①-6 セミナー・シンポジウム

研究不正の防止に関するノウハウの蓄積と専門的人材育成等に関連するものとして、また、研究倫理教材による研究開発活動の不正行為の防止に係る啓発活動等のため、関係機関と連携し、多数のシンポジウム、セミナーを開催。

②研究公正の啓発活動の推進及び体制の整備

②-1 専門部署の設置と体制の整備

②-2 契約書、規則等の整備と周知

- 「不正行為等への対応に関する規則」及び「利益相反の管理に関する規則」を運用するとともに、必要に応じて改訂して研究機関に周知した。
- 研究機関からの要望に応じ、出前説明会を開催、12機関1,428名参加（令和元年度は2機関117名参加）。
- 個人情報保護法等の改正に伴う「研究倫理指針の改正に関する説明会」を、文部科学省及び厚生労働省と連携して平成29年5月から6月にかけて開催（134名参加）した。

②-3 事業部門との連携

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、フロー等について必要な見直しを引き続き行うとともに、機構内での業務手順等を示す不正対応マニュアル（平成31年3月）の認識を共有し、体制の整備を行った。

Ⅰ(1) 機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等
②研究不正防止の取組の推進

令和元年度評価
期間実績評価

①-1 RIOネットワーク

令和元年度の取組実績は下線付き

研究公正活動を効率的に推進するにあたっては、AMEDと研究機関、あるいは研究機関同士が情報を交換し、互いに協力しあっていくことが重要。
全国的に効率的な研究公正活動を推進するため、AMEDから研究資金の配分を受けている研究機関の研究公正関係者が気軽に情報交換ができる場を提供すべく、平成29年7月に、「RIOネットワーク」を設立。　RIO：Research Integrity Officer（研究公正責任者）の略

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

「主な活動」
- ■平成29年7月21日から登録開始
  令和2年3月1日時点の登録者数：約2,700名
  登録機関数：約900機関
- ■平成29年9月20日から原則毎週水曜日に**メールマガジン**を発行
- ■平成29年11月29日に東京で**キックオフシンポジウム**を開催「志向倫理」がメインテーマ　参加者：320名　(JSPS, JST共催)
  講演の動画、講演資料、講師と参加者によるフリーディスカッション、参加者アンケートに書かれた質問への講師の回答などをAMEDのHPで公開
- ■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2年間で計4回開催、申込者殺到。令和元年度に**「第6回科学者倫理研究会」**を開催。
- ■平成31年2月6日に東京で関係者の成果報告を紹介する機会として「**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

メールマガジン

RIO NETWORK BY AMED

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

☆
RIOネットワーク分科会
第2回「倫理審査委員教育実施に向けたワークショップ」開催のご案内

本日は第1回のワークショップを開催しておりますが、第2回のワークショップのご案内です。

「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」では、倫理審査委員会設置者に、少なくとも年1回、倫理審査委員が教育・研修を受講できるよう措置を講じることを義務づけています。しかし、教育・研修の内容や方法について頭を悩ませている倫理審査委員会事務局等は多いのではないでしょうか？
そこで、平成28年度研究公正高度化モデル開発支援事業（「倫理審査の質向上を目的とした倫理審査委員向け教材の開発」研究代表者：東京大学　神里彩子）において開発された倫理審査委員向けの動画教材Rec-educationプログラムを用いながら、実際にどのように研修を行うのが良いか検討するワークショップを開催します。倫理審査委員会の運営等について、また、日ごろ疑問に思っていたり悩んでいることについて、情報交換や相談できる時間も設けます。
是非、奮ってご参加ください。

対象：
RIOネットワークメンバー又はメンバーからの紹介者、Rec-educationプログラム登録者で倫理審査委員の教育・研修を企画する者（事務局等）

日時：2019年2月20日（水）13:30-16:30
場所：AMEDの会議室（東京都千代田区大手町、地下鉄大手町駅直結）
定員：30名程度
参加費：無料

詳細はRIOネットワークのホームページの「分科会活動」をご覧ください。

ワークショップの一場面



シンポジウム



Ⅰ(1) 機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等
②研究不正防止の取組の推進

令和元年度評価
期間実績評価

令和元年度の取組実績は下線付き

①-2　ケースブック作成等

・研究者が自ら考え、複数人の参加者同士で議論を行うことを目的とし、「双方向型の研究倫理教育プログラム」向けの教育教材として、主に医療分野の研究開発における不正行為等事例集「事例から学ぶ公正な研究活動　～気づき、学びのためのケースブック～」（普及版）（平成30年3月作成）同ケースブックの「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31年3月に刊行。また、研究を進めるにあたって、何らかの理由のために不適切な研究行為をしてしまおうか悩みながら思いとどまった例や、周りの人にそれは不適切な行為だと指摘されて不正をせずに済んだ例を集めた「研究公正に関するヒヤリ・ハット集」を令和2年3月までに作成し、RIOネットワークなどを通じて希望者に配布。



①-3　研究公正高度化モデル開発支援事業

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

○平成28年度公募事業　実施期間：平成28年度～平成30年度
プログラム①　研究倫理教育に関するモデル教材・プログラムの開発（8課題）
・医系国際誌の投稿規範に関する教育教材
・教育機能と評価尺度を備えた履修管理システム
・学習事例の自動生成システムによる臨床研究用教材
・倫理審査委員会の委員及び事務局員向け教材（初級編、上級編、法律家委員向け）
・研究倫理コンサルタントの養成
・利益相反管理の教育教材
プログラム② 研究公正の取組み強化のための調査研究（1課題）

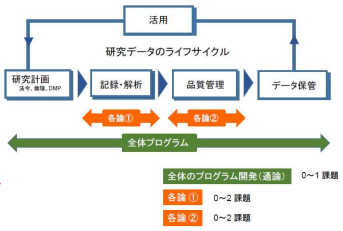


○平成31年度公募事業　実施期間：平成31年度～令和3年度
プログラム①　教育教材・プログラムの開発（5課題）
・教育教材、プログラム（FFP,QRP）の防止の開発
・研究倫理教育教材の活用プログラムの開発（カリキュラム、マニュアル　等）
・研究倫理教育の評価プログラムの開発（評価システム　等）
プログラム② 研究公正の取組み強化のための調査研究（2課題）

①-4 研究データの質向上の指導者育成事業

・研究機関における研究データの品質管理や保管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」を平成29年度に行った。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。この調査を受けた事業として下記を行う。

1. 研究データの質向上の指導者育成プログラム開発事業
　研究データライフサイクル全体について、研究現場で研究者を直接指導する者を育成するための体系的なプログラムを、公募により平成30～31年度に開発を実施。
2. 研究データの質向上の指導者育成研修事業
　開発したプログラムを用いトライアル研修会を開催することにより、令和2年度からの全国各地での研修会の開催に向けて、プログラムのブラッシュアップを行った。



①-5 研究倫理ホームページ

AMED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、「研究倫理ホームページ」を公開。主に臨床研究法や研究倫理指針を適用して実施される研究開発に携わる者（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）が対象。「研究倫理ホームページ」は平成30年5月に公開した。



Ⅰ(1) 機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等
②研究不正防止の取組の推進

令和元年度評価
期間実績評価

令和元年度の取組実績は下線付き

①-6 セミナー等の開催

- 平成27及び28年度　利益相反管理の理論と実務
- 平成29年度　事例から学ぶ公正な研究活動セミナー
- 平成30年度　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～
- 令和元年度　専門家から見た研究データ
  ～適切なデータ処理を行うためには～
- 学会等との共同企画　（平成28年度　日本薬学会、平成30年度　日本生命倫理学会）
- 研究機関の希望に応じ、出前説明会も随時実施

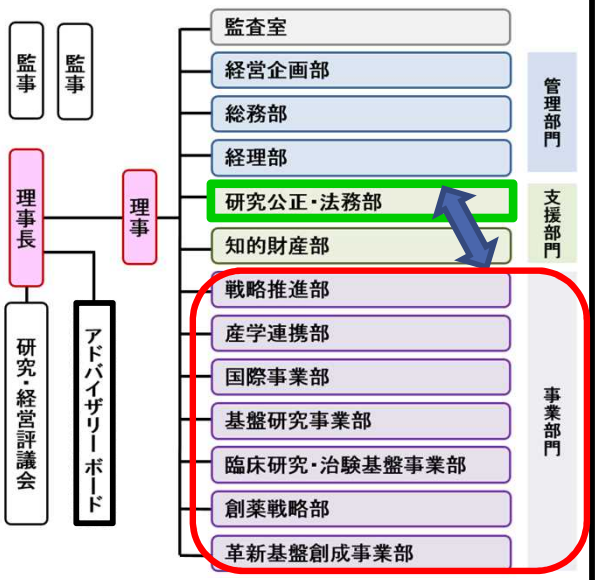


①-6 シンポジウムの開催（JST/JSPS共催）

- 「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―」平成27年9月at東京
- 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」平成28年6月 at東京
- 研究公正シンポジウム　「RIOネットワークキックオフシンポジウム」平成29年11月 at東京

②-1 専門部署の設置と体制の整備

- 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。
- ・不正行為等の告発等窓口等を設置した。
- ・文科省、厚労省、経産省の各ガイドラインを受けた統一的な規則となる「研究活動における不正行為等への対応に関する規則」を制定・改定公表した。



②-2 契約書、規則等の整備と周知

- 財源府省が定める「ガイドライン（不正行為、不正使用）」を踏まえ、「委託研究開発契約書」及び「医療研究開発推進事業費補助金取扱要領」において、研究倫理教育を明文化することにより、研究開発代表者及び分担研究者に対しては、履修状況の報告を求めている。
- 研究者による企業等の経済的利益になる研究成果を求めるようになることを防止する観点から、利益相反を管理するため、「研究活動における利益相反の管理に関する規則」を制定し、研究開発代表者及び分担研究者の利益相反管理を研究機関に求めている。

②-3 事業部門との連携

- 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、フロー等について必要な見直しを行うとともに、機構内での業務手順等を示す不正対応マニュアルを平成30年度に作成し、認識を共有するなど体制の整備を行った。

Ⅰ(1) 機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等
②研究不正防止の取組の推進

令和元年度評価
期間実績評価

令和元年度の取組実績は下線付き

評価軸

・基礎研究及び臨床研究における不正防止の取組を推進するため、専門の部署を設置したか。
・自らが配分する研究費により実施される研究に対して、公正かつ適正な実施の確保を図ったか。

■公正かつ適切な研究開発の実施のための啓発活動の推進及び体制の整備

■規則、契約書等の整備と周知（令和元年度評価、期間実績評価のページの②-2を参照のこと）及び事業部門との連携）

■研究費の不合理重複・過度集中の排除と不正防止に向けた啓発活動

・事業担当者との連携を通じ、e-Radに登録された採択課題情報と研究提案書等の情報に基づき、研究費の不合理な重複及び過度の集中について確認した。

・e-Rad の運営に関して、資金配分機関としての管理業務、事業担当者からの各種依頼対応、e-Rad運営委員会と事業担当者の間の連絡窓口に関する業務を行った。

・「競争的資金の適正な執行に関する指針」に基づき関係府省に展開される、参加制限措置を受けた者の共有リストを整理し、事業担当者に周知するとともに取扱いについての説明を行った。また、他の配分機関で参加制限措置を受けた者の具体的な取扱いについて、事業担当者と連携しながら解決を図り、十分な説明を行った。

・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、平成30年度に引き続き、令和元年度も、研究機関等へ無理なく、作業を依頼できるように、AMEDへの報告様式を変更した。昨年に引き続き会計情報入力を支援するツールを改良・作成し、それをAMEDの事業担当課を通し、研究機関に配布するとともに、AMED内の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。

▼モニタリング指標：研究倫理教育プログラムの履修状況報告

平成27年度：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

平成28年度：研究倫理教育プログラムの履修状況報告：609件

平成29年度：研究倫理教育プログラムの履修状況報告：845件

平成30年度：研究倫理教育プログラムの履修状況報告：788件

令和元年度：研究倫理教育プログラムの履修状況報告：552件

Ⅰ(1) 機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等
②研究不正防止の取組の推進

令和元年度評価
期間実績評価

令和元年度の取組実績は下線付き

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

■適正な臨床研究推進に向けた取組

・平成27年度～28年度に治験適正推進事業において、14機関を対象に「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」に適合しているか確認するための調査を行った結果、指針の改定による規程や手順書等と体制の整備に時間を要していることが見受けられた。また明らかな指針違反等はなかったが、手続き上の遅延や不備がある機関もあった。その都度、直接指摘をしており、その後の改善計画も求めフォローした。

・平成29年度には、臨床研究適合性確認事業において、「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」の遵守状況を、14機関を対象に、調査票をもとに書面及び実地にて確認した結果、改正後の倫理指針に対応した規定および手順書が整備されており、また、研究者や倫理審査委員会事務局の運用を支援する体制整備が進められていた。さらに、臨床研究法の施行を見据えて、法に基づく臨床研究審査委員会に対する体制整備を進めている機関も見られた。各機関の遵守状況の結果については厚生労働省へ報告した。手続き上の不備等が見られた機関については、厚生労働省指示のもと改善策及びその後の状況を確認し、その結果を厚生労働省に報告した。

・平成30年度には、臨床研究実施基準等適合性確認事業において、14の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」の遵守状況と「臨床研究法」への対応状況をチェックリストをもとに書面及び実地にて確認したところ、適正な審査及び研究が行われており、研究者や倫理審査委員会事務局の運用を支援する体制が整備されていた。さらに、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。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。

■研究倫理教育プログラムの履修と利益相反管理

・機構の事業に参加する研究者に対して研究倫理教育プログラム履修の義務付け、報告書未提出の課題については提出の督促を行った。

・利益相反管理については、平成30年3月31日で、経過措置が終了となるため、小規模な企業や病院でも利益相反管理が実施可能となるようにAMEDの規則を改正し、平成30年度以降に契約をする者においては、研究開発代表研究者および研究開発分担者において、必ず利益相反管理を実施できる体制を整えた。

■ノウハウの蓄積と専門的人材育成の取組（前ページ等の①-1～①-6を参照のこと）

▼モニタリング指標：研究不正防止に係る外部向け説明会、展示会等開催回数及び参加者数説明会

平成27年度　25回、4,524名、平成28年度　18回、2,075名、平成29年度　15回、1,716名、平成30年度　16回、2,009名、令和元年度　12回、581名

・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、令和元年度　5回、242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、令和元年度　7回、339名

Ⅰ(1)機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等
③臨床研究及び治験データマネジメントの実行

令和元年度評価

評定(自己評価)	
B	①これまでの進捗管理の手法から更なる向上を図り、より効率的なマネジメントを実施し、また中央IRB促進事業において、認定臨床研究審査委員会(CRB)、研究機関、研究者各々の立場の課題を明らかにし、相互に情報交換を行った。②厚労省と連携して質の高い臨床研究の実施のために必要な研修を実施し、③ICT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。以上より、「研究開発成果の最大化」に向けて成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められる。

①研究マネジメントの効率的な実施

①-1　臨床研究・治験推進事業では、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、より効率的な独自の研究マネジメントを実施した。

①-2　令和元年度は、認定臨床研究審査委員会(CRB)審査の効率化や質の均てん化、非介入研究の一括審査の推進・審査の効率化・質の向上を目指し以下の取組を行った。

①CRB協議会
②臨床研究実施機関の協議会
③研究者が必要とするCRBの情報についての調査
④多施設共同研究における事務局業務支援
　システム仕様に関する検討
⑤非介入研究審査ガイドラインの運用及び改訂

②臨床研究・治験従事者の育成

令和元年度事業は厚労省に移管されたため、AMEDのホームページで厚労省の研修のページを紹介、周知した。また、厚労省担当課と連携し、AMED革新拠点PJ拠点調査会議の後に、厚労省の研修事業のサイトビジットを実施し、必要に応じて互いにオブザーバーとして出席することにより、事業の円滑な移行を図った。

③ICT基盤構築に係る研究の推進

「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基盤構築研究においては、6学会及び国立情報学研究所の班会議にはAMEDも参加し積極的に進捗管理を図るとともに、7研究の合同会議を複数回主催し、学会間の情報共有、共通認識の醸成を図った。

Ⅰ(1)機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等
③臨床研究及び治験データマネジメントの実行

期間実績評価

評定(自己評価)	
B	①外部委託で推進してきた進捗管理の手法を着実に承継して効率的なマネジメントを実施し、また中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会において多施設からの一括審査を可能とすることでより質の高い治験データマネージメント実施を促進した。また、審査の効率化や均てん化を目指し、審査する上での課題等を様々な立場(CRB、研究機関、研究者)から検討した。②質の高い臨床研究の実施のために必要な臨床研究コーディネーターなど多職種の研修を実施し、③ICT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。以上より、「研究開発成果の最大化」に向けて成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められる。

	H27	H28	H29	H30	R1	見込	期間
自己評価	B	A	B	B	B	B	B
主務大臣評価	B	A	B	B		B	

①研究マネジメントの効率的な実施

①-1・臨床研究・治験推進事業では、平成28年度から医薬基盤・健康・栄養研究所(基盤研)との連携による研究マネジメント手法を実施、その後はその手法を承継するとともに、さらなる改良を加え独自の研究マネジメントを実施した。

①-2中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会基盤整備事業では、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。また、平成30年4月1日までに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。令和元年度には、認定臨床研究審査委員会(CRB)審査の効率化や質の均てん化、非介入研究の一括審査の推進・審査の効率化・質の向上を目指す取組を行った。

②臨床研究・治験従事者の育成

・質の高い臨床研究の実施に資するべく、臨床研究コーディネーター(CRC)、データマネージャー(DM)、治験・倫理審査委員、医師を対象とした研修(4年間で、**上級者CRC8回、DM10回、治験審査委員会・倫理審査委員会委員15回、臨床研究・治験従事者24回**)を開催。4年間で延べ約2500名の参加者を得た。令和元年度は厚労省に移管されたため、厚労省担当課と連携して事業の円滑な移行を図った。

③ICT基盤構築に係る研究の推進

・「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頻回に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。

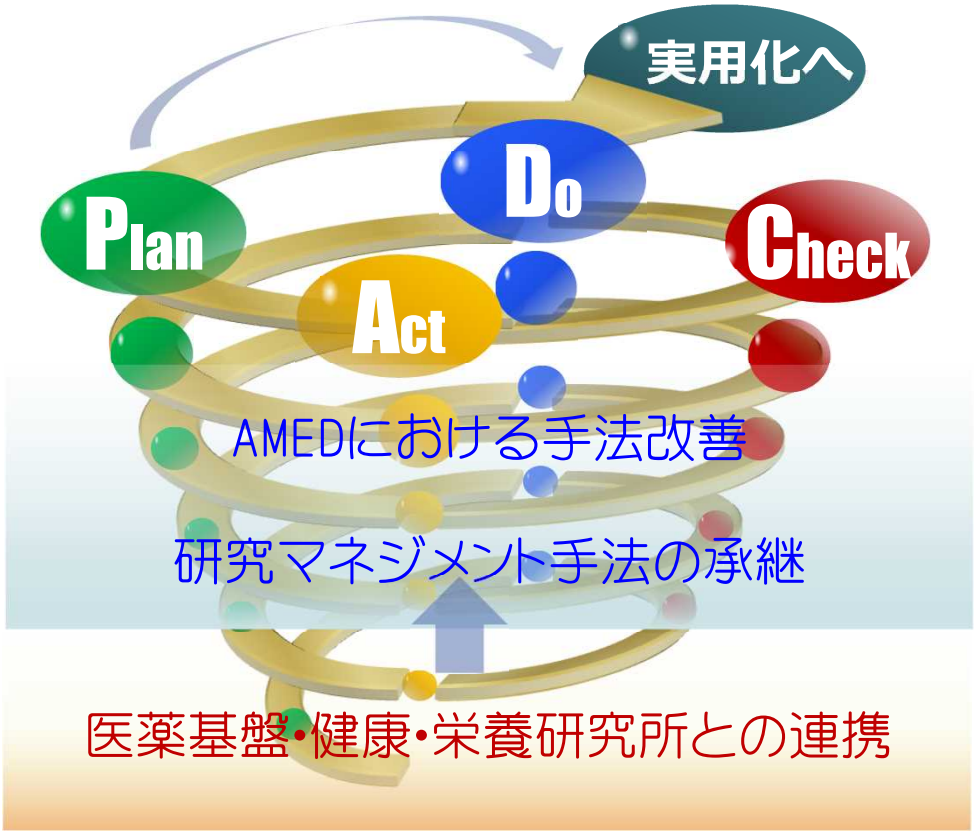
Ⅰ(1)機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等
③臨床研究及び治験データマネジメントの実行

期間実績評価　令和元年度評価

①研究マネジメントの効率的な実施

①-1 臨床研究・治験推進研究事業

医薬基盤・健康・栄養研究所（基盤研）との連携による研究マネジメント手法を実施、その後はその手法を承継するとともに、さらなる改良を加え独自の研究マネジメントを実施した。



①-2 中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会基盤整備事業、中央IRB促進事業

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受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。

令和元年度は、認定臨床研究審査委員会(CRB)審査の効率化や質の均てん化、非介入研究の一括審査の推進・審査の効率化・質の向上を目指し以下の取組を行った。

①CRB協議会
②臨床研究実施機関の協議会
③研究者が必要とするCRBの情報についての調査
④多施設共同研究における事務局業務支援システム仕様に関する検討
⑤非介入研究審査ガイドラインの運用及び改訂



Ⅰ(1)機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等
③臨床研究及び治験データマネジメントの実行

期間実績評価　令和元年度評価

②臨床研究・治験従事者の育成

	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	1回、82名	3回、132名	2回、98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	4回、144名

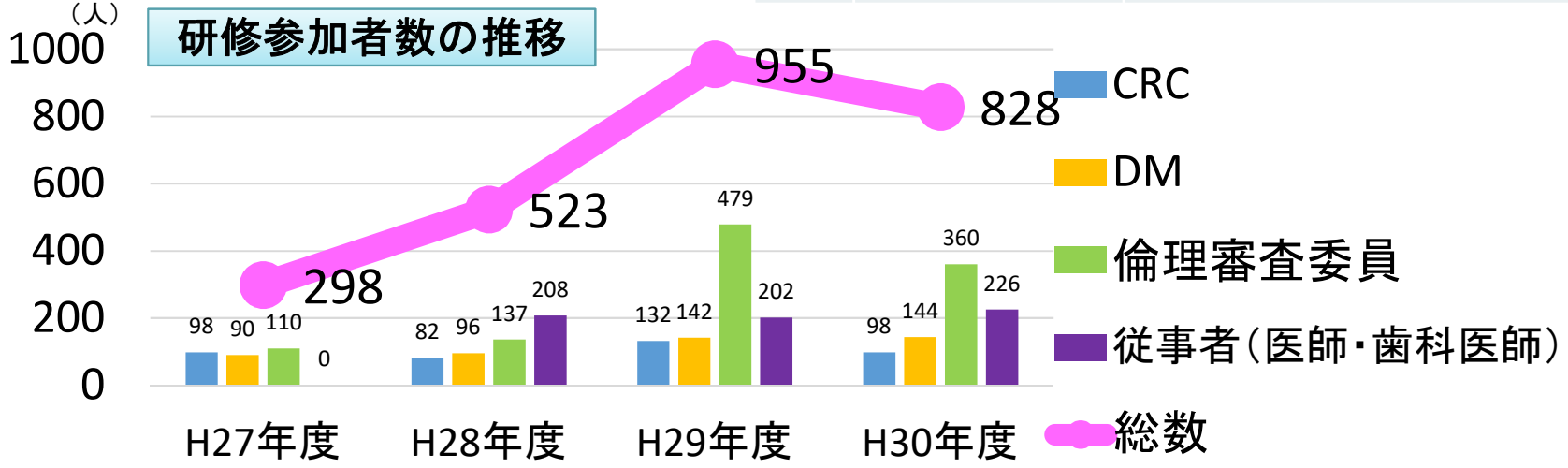
令和元年度事業は厚労省に移管されたため、AMEDのホームページで厚労省の研修のページを紹介、周知した。また、厚労省担当課と連携し、AMED革新拠点PJ拠点調査会議の後に、厚労省の研修事業のサイトビジットを実施し、必要に応じて互いにオブザーバーとして出席することにより、事業の円滑な移行を図った。

○ 平成30年度開催実績

研修内容	開催日	主催(共催)
臨床研究・治験従事者研修	平成30年7月22日(日)	慶應義塾大学病院
	平成30年9月1日(土)	岡山大学病院
	平成30年10月13日(土)	北海道大学病院
	平成30年10月20日(土)	東京大学医学部附属病院
	平成30年10月28日(日)	京都大学医学部附属病院
	平成30年12月8日(土)	国立がん研究センター東病院
	平成30年12月15日(土)	九州大学病院
	平成31年1月12日(土)	大阪大学医学部附属病院
	平成31年2月16日(土)	東北大学病院
上級者臨床研究コーディネーター養成研修	平成30年10月18日(木)-19日(金)	国立がん研究センター中央病院(がん研究センター東病院)
	平成30年12月1日(土)-12日(日)	大阪大学医学部附属病院(岡山大学病院)
倫理審査委員会・治験審査委員会養成研修	平成30年7月21日(土)	大阪大学医学部附属病院
	平成30年9月22日(土)	国立がん研究センター中央病院
	平成30年11月25日(日)	京都大学医学部附属病院
	平成31年1月19日(土)	九州大学病院
	平成31年2月24日(日)	慶應義塾大学病院
	平成31年3月8日(金)	東京大学医学部附属病院
データマネージャー養成研修	平成30年10月18日(金)-20日(土)	岡山大学病院
	平成30年11月	大阪大学医学部附属病院(東北大学病院、東京大学病院)
	平成30年12月8日(土)-9日(日)	名古屋大学医学部附属病院
	平成31年2月15日(金)-16日(土)	千葉大学医学部附属病院

○ 専門人材の確保、モニター・監査人材の研修、教育訓練等を実施

○ 臨床研究人実施者を育成



Ⅰ(1)機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等
③臨床研究及び治験データマネジメントの実行

期間実績評価　**令和元年度評価**

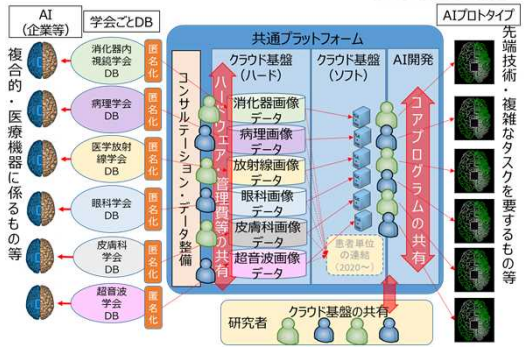
③ICT基盤構築に係る研究の推進

臨床研究等ICT基盤構築・人工知能実装研究事業　診療画像データベース基盤構築研究

・AMED開催連携会議（H29:11回、H30:7回、R1:6回）研究内容の学会周知（10回）、AMED指導個別会議（63回）

AMEDが主体となり開催した連携会議名	開催日	議題
平成29年度		
第1回　画像関連学会連携会議	4月14日	キックオフ
第2回　画像関連学会連携会議	5月15日	SINET5の利活用
第3回　画像関連学会連携会議	6月19日	倫理申請に係る課題検討
第1回　画像関連学会実務者連携会議	7月10日	第1回調整費の主旨
第2回　画像関連学会実務者連携会議	9月27日	第1回調整費による研究拡充詳細
第3回　画像関連学会実務者連携会議	10月2日	学会ごとの進捗状況と課題共有
第4回　画像関連学会連携会議	10月30日	中間報告会
第1回　個人情報等倫理的問題検討会議	11月13日	次世代医療基盤法
第2回　個人情報等倫理的問題検討会議	12月4日	個人情報保護法
第3回　個人情報等倫理的問題検討会議	12月25日	各学会の倫理課題
第4回　個人情報等倫理的問題検討会議	2月7日	倫理課題とりまとめ
平成30年度		
第1回　画像関連学会連携会議	7月4日	今後の研究開発の方向性
第1回　画像学会・プラットフォーム研究者全体会議	7月25日	今年度開発予定のAIについて
第1回　AI 知財課題に関する会議	8月31日	企業との契約の在り方
第2回　画像学会・プラットフォーム研究者全体会議	10月5日	学会ごとAI開発進捗状況
第1回　AI 知財課題に関する会議	1月17日	次世代医療基盤法
第2回　AI 知財課題に関する会議	2月28日	プログラム特許・著作権
第3回　画像学会・プラットフォーム研究者全体会議	2月1日	次年度開発予定のAIについて
令和元年度		
第1回　画像関連学会連携会議	4月18日	出口戦略
平成30年度 画像関連研究成果報告会	4月27日	同上
第1回　出口戦略実務者会議	6月21日	出口戦略
第2回　画像関連学会連携会議	7月30日	出口戦略
第3回　画像関連学会連携会議	9月27日	研究進捗報告
AMEDシンポジウム	12月13日	国立情報学研究所喜連川所長講演

AMED協賛シンポジウム（学会内周知）	開催日（R1）
平成30年度 画像関連研究成果報告会	4月7日
第78回 日本医学放射線学会	4月12日
第123回 日本眼科学会	4月19日
平成30年度 画像関連研究成果報告会（第30回日本医学会総会）	4月27日
第108回 日本病理学会	5月9日
第92回 日本超音波医学会	5月24日
第118回 日本皮膚科学会	6月8日，9日
日本学術会議 放射線・臨床検査分科会シンポジウム	10月28日
第20回 日本医療情報学会	11月22日
日本医療情報学会シンポジウム	3月17日



学会名	開催日(R1)	会議内容
日本医学放射線学会	6月14日	第1回分科会
	8月23日	第1回班会議
	10月28日	第2回班会議
	12月20日	第3回班会議
	1月16日	第4回班会議
	2月5日	第5回班会議
日本消化器内視鏡学会	8月23日	倫理課題研究会
	9月6日	第1回分科会
	10月11日	倫理課題研究会
	1月24日	倫理課題研究会
	3月27日	第2回分科会
日本病理学会	4月22日	第1回班会議
	6月6日	第2回班会議
	7月6日	第3回班会議
	7月29日	第4回班会議
	8月29日	第5回班会議
	9月30日	第6回班会議
	10月3日	第1回分科会
	10月31日	第7回班会議
	11月28日	第8回班会議
	12月26日	第9回班会議
	1月10日	第2回分科会
	1月13日	第10回班会議
	1月30日	第11回班会議
	2月20日	第12回班会議
	2月22日	年度末全体会議
	3月19日	第13回班会議
日本超音波医学会	6月24日	第1回班会議
	7月25日	第1回分科会
	8月19日	第2回班会議
	11月25日	第3回班会議
	1月20日	第4回班会議

学会名	開催日(R1)	会議内容
日本皮膚科学会	6月8日	第1回班会議
	6月28日	第1回分科会
	9月7日	第2回班会議
	11月16日	第3回班会議
	12月20日	第1回分科会
	2月21日	第4回班会議
	3月6日	第2回分科会
日本眼科学会	4月17日	第1回分科会
	4月21日	第1回班会議
	5月21日	第2回分科会
	7月17日	JAMI班会議
	8月20日	第3回分科会
	10月15日	第4回分科会
	10月26日	JAMI班会議
国立情報学研究所	4月17日	第1回分科会1
	5月21日	第2回分科会1
	6月14日	第1回分科会2
	6月28日	第1回全体会議
	6月28日	第1回分科会3
	7月25日	第1回分科会4
	8月20日	第3回分科会1
	9月6日	第1回分科会5
	10月3日	第2回全体会議
	10月3日	第1回分科会6
	10月15日	第4回分科会1
	12月20日	第3回全体会議
	12月20日	第1回分科会3
	1月10日	第2回分科会6
	3月6日	第2回分科会3
	3月10日	第4回全体会議
	3月27日	第2回分科会5

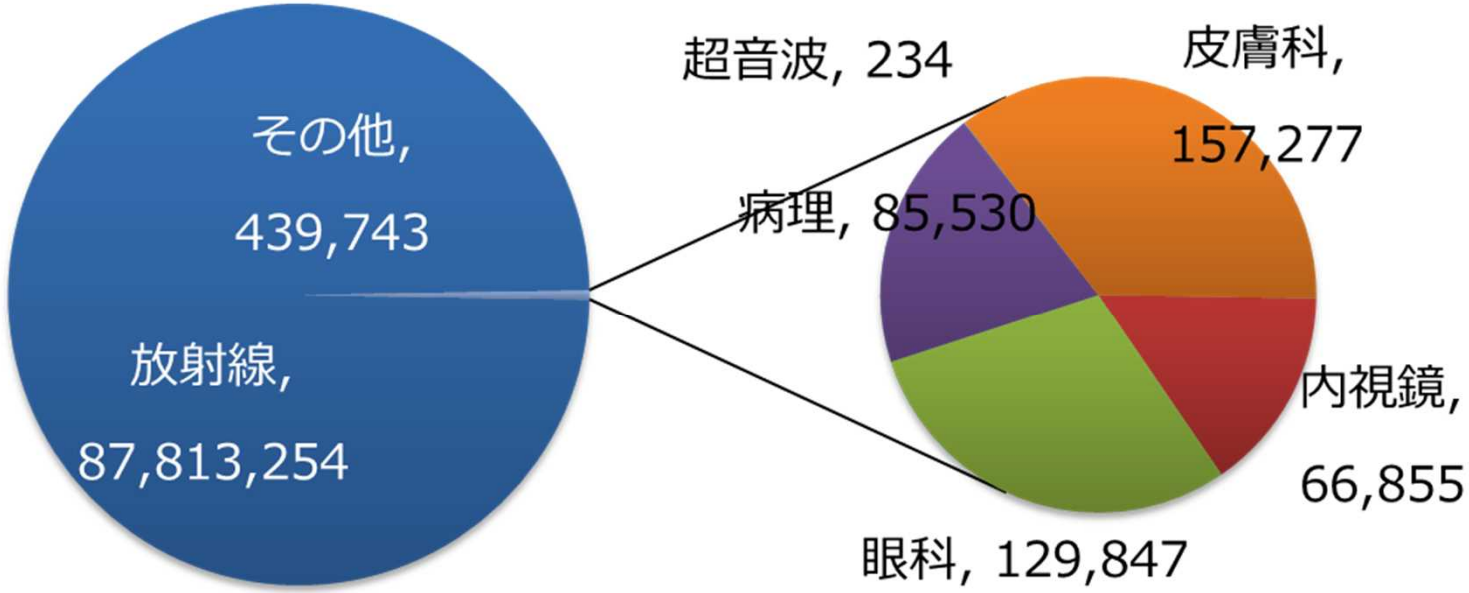
Ⅰ(1)機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等
③臨床研究及び治験データマネジメントの実行

期間実績評価　令和元年度評価

③ICT基盤構築に係る研究の推進

令和2年2月末

学会	放射線	内視鏡	眼科	病理	超音波	皮膚科
画像枚数	87,813,254	66,855	129,847	85,530	234	157,277
施設数	5	5	15	20	2	15
ラベル	2,133	0	ALL	ALL	0	ALL
アノテーション	1,003	927	0	160	234	0



Ⅰ(1)機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等
③臨床研究及び治験データマネジメントの実行

評価軸

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

令和元年度評価

① 研究マネジメントの効率的な実施

①−1　前ページ等の①-1、①-2を参照のこと

② 臨床研究・治験従事者の育成

前ページ等の②を参照のこと

③ICT基盤構築に係る研究の推進

前ページ等の③を参照のこと

期間実績評価

① 研究マネジメントの効率的な実施

①−1　前ページ等の①-1を参照のこと

①−2　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、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。

② 臨床研究・治験従事者の育成

◆　質の高い臨床研究・治験を効率的に実施していくための研究マネジメントを実現するための研修を実施し、27年度約300名、28年度約500名、29年度約900名、30年度約800名の参加者を得た。

③ICT基盤構築に係る研究の推進

前ページ等の③を参照のこと

Ⅰ(1)AMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等
④実用化へ向けた支援

令和元年度評価

評定(自己評価)	
B	令和元年度は、知的財産部のコンサルタントとAMED知財リエゾンが一体となり、全国機動的に知財に関する支援を可能とする体制を、前年度に引き続き運用した。有効な支援のための調査メニューに、臨床現場のニーズと当該ニーズの解決手段を保有する企業とをマッチングする調査を新たに追加した。また、研究者における知財マインドの醸成のため、知財教材の作成・活用、知財に関する留意点をまとめたパンフレット作成を実施した。医薬品シーズのマッチング機会提供のため、AMEDぷらっと®の普及と活用を進めると同時に、国内外の商談会等への出展支援については、コンサルタント等による支援を充実化させることで、秘密保持契約の締結率を向上させた。以上、「研究開発成果の最大化」に向けて、着実な業務運営がなされている。

① 知的財産管理・相談窓口の開設と運用

①-1　知的財産コンサルタント、AMED知財リエゾンが一体となり、全国機動的に知的財産の管理や戦略立案の支援を可能とする体制を、引き続き運用した。

②知的財産取得に向けた研究機関への支援

②-1　有効な支援を実施するために、先行技術調査等従前の調査メニューに加え、臨床現場の「医療ニーズ」と、当該「医療ニーズ」の解決策を有する企業とをマッチングする調査を新たに開始、活用した。

②-2　大学の知財・産連担当者を対象とした実践的なセミナー・コース研修を引き続き実施。研究者と産学連携担当者が実シーズの実用化戦略を策定する「パートナリング塾」につき、前年度の参加者をOJTとして商談会に参加させた。

②-3　研究者における知財マインドの醸成のため、知財教材の作成と、及び、知的財産に関する留意点をまとめたパンフレット作成を実施。

③研究成果の導出促進に向けたマッチング機会の提供

③-1　アカデミアシーズと企業ニーズとを早期にマッチングする「AMEDぷらっと®」を運用。学会等での宣伝等により、参加機関数、登録シーズともに順調に増加しており、マッチング事例が生じる等具体的な成果を生みつつある。

③-2　国内外の商談会等への参加支援(計6回、のべ59課題)を行い、支援対象、課題の厳選や、商談会前に実シーズを用いた研究者と導出担当者がペアで受講する研修を実施する等し、のべ24課題についてCDA締結に結びつけた。

④研究開発成果の確実な上市に向けた取組

④-1　創薬支援推進事業・創薬シーズ実用化支援基盤整備事業として8つの創薬支援推進ユニットを整備、幅広く採択シーズの支援を実施した。創薬支援ネットワークにおいては、令和元年度のみで3件(合計9件)の導出を達成した。

④-2「医療機器開発支援ネットワーク」を運営し、相談(150件)、伴走コンサル(135件)を実施した。

⑤PMDAと連携した実用化への橋渡しの促進

⑤-1 PMDAが実施するレギュラトリーサイエンス戦略相談にAMED職員も同行し情報共有を行った。

⑥レギュラトリーサイエンス研究の支援

⑥-1　PMDAとの連携協定に基づき、両機関のハイレベルを含めた様々な意見交換・シンポジウムの企画・参加などの連携を継続実施。また、具体的な成果として、主に以下のものが挙げられる。

・造腫瘍性評価の考え方と試験法におけるコンセンサスを構築
・薬物動態や薬剤応答のモデル解析に関する3種のガイドライン案を作成

⑦医工連携推進支援事業の運営の推進

⑦-1 PMDAと実施者が面談する際、AMED職員の同席や面談記録の共有を受けることで、効果的な開発推進に活かした。

⑧官民ファンド等に研究開発の成果をつなげ、実用化を促進するための取組

⑧－1(株)産業革新機構と個別の支援案件に関する情報交換を行い、研究成果の実用化促進を図った。また、他の民間ファンドとも連携に向けた具体的な方法について意見交換を行った。

⑨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

成果報告書記載論文に加え、Web of Science から成果論文を捕捉する手法を構築、定期的に取得しAMSから発信する運用体制を構築した。

Ⅰ(1)AMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等
④実用化へ向けた支援

期間実績評価

評定（自己評価）	評価期間を通じ、知財相談窓口の設置、AMEDぷらっと®の設置、調査支援の拡充、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。
B	

	H27	H28	H29	H30	R1	見込	期間
自己評価	B	B	B	A	B	B	B
主務大臣評価	B	B	B	B		B	

① 知的財産管理・相談窓口の開設と運用

①-1　知的財産コンサルタント、AMED知財リエゾンが一体となった全国機動的な相談対応体制の構築。

①-2　相談内容が知財戦略中心にシフト。AMED支援への満足度向上。

②知的財産取得に向けた研究機関への支援

②-1　適切な知財戦略の策定のための補足的な調査の実施。

②-2　医療分野の知財戦略策定等の資料作成のための調査の実施。

②-3　大学の知財・産連担当者を対象とした実践的なセミナー・コース研修の開催の開催、医療系学生を対象とした知財教材作成を通じた知財人材育成。

③研究成果の導出促進に向けたマッチング機会の提供

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

③-2　展示会、商談会等への参加支援を通じ、企業への情報提供・マッチング等の実用化に向けた連携を促進。支援対象、課題の厳選や、商談会前に実シーズを用いた研究者と導出担当者がペアで受講する研修を実施する等し、のべ24課題についてCDA締結に結びつけた。

④研究開発成果の確実な上市に向けた取組

④-1　創薬支援ネットワークの各種研究情報の積極的な公開、支援機能の充実などにより、合計9件の導出を達成した。

④-2「医療機器開発支援ネットワーク」を運営し、相談、伴走コンサルを実施。

⑤PMDAと連携した実用化への橋渡しの促進

⑤-1　PMDAと連携協定を締結し、双方の機能・知識・経験を相互活用する協力体制を構築。PMDAが実施するレギュラトリーサイエンス戦略相談にAMED職員も同行し情報共有。

⑥レギュラトリーサイエンス研究の支援

⑥-1　PMDAとの連携によるレギュラトリーサイエンス研究の推進。具体的な成果として、主に以下のものが挙げられる。

・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の作成・公表
・造腫瘍性評価の考え方と試験法におけるコンセンサスを構築
・薬物動態や薬剤応答のモデル解析に関する3種のガイドライン案を作成

⑦医工連携推進支援事業の運営の推進

⑦-1 PMDAと実施者が面談する際、AMED職員の同席や面談記録の共有を受けることで、効果的な開発推進に活かした。

⑧官民ファンド等に研究開発の成果をつなげ、実用化を促進するための取組

⑧-1　(株)産業革新機構との連絡検討委員会において、両機関の取り組みについて情報交換を実施。

⑧-2　AMEDの研究開発課題の審査委員会等に、(株)産業革新機構の投資専門家が委員として参画し、市場性のある有望な研究開発課題の選定を推進。

⑨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

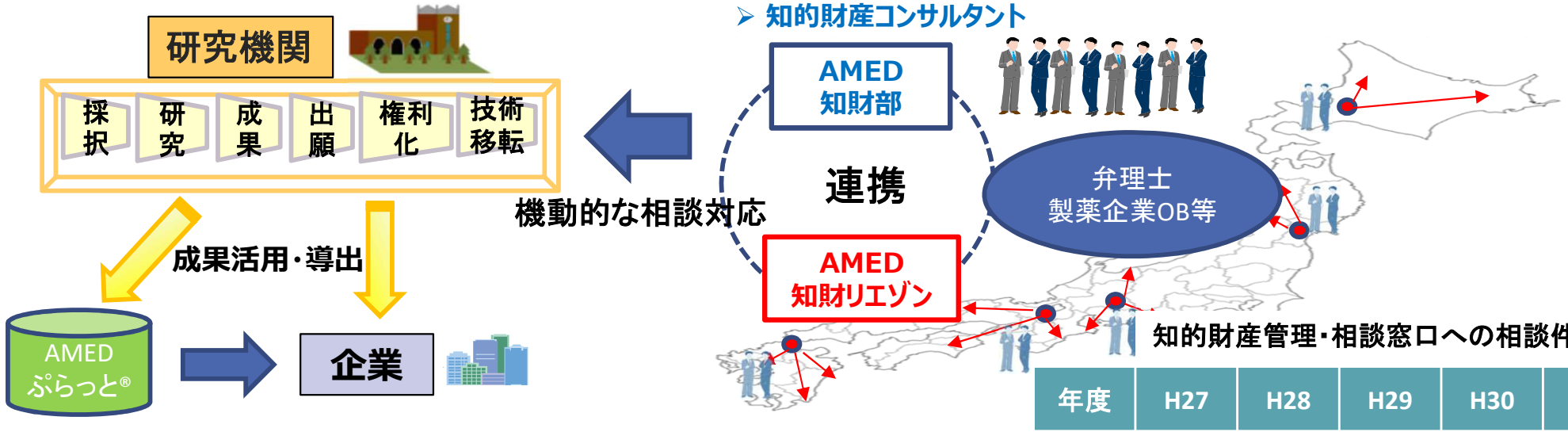
成果報告書記載論文に加え、Web of Science から成果論文を捕捉する手法を構築、定期的に取得しAMSから発信する運用体制を構築した。

Ⅰ(1)AMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等
④実用化へ向けた支援

令和元年度評価
期間実績評価

①知的財産管理・相談窓口の開設と運用

①-1　知的財産コンサルタント、AMED知財リエゾンが一体となった全国機動的な相談対応体制



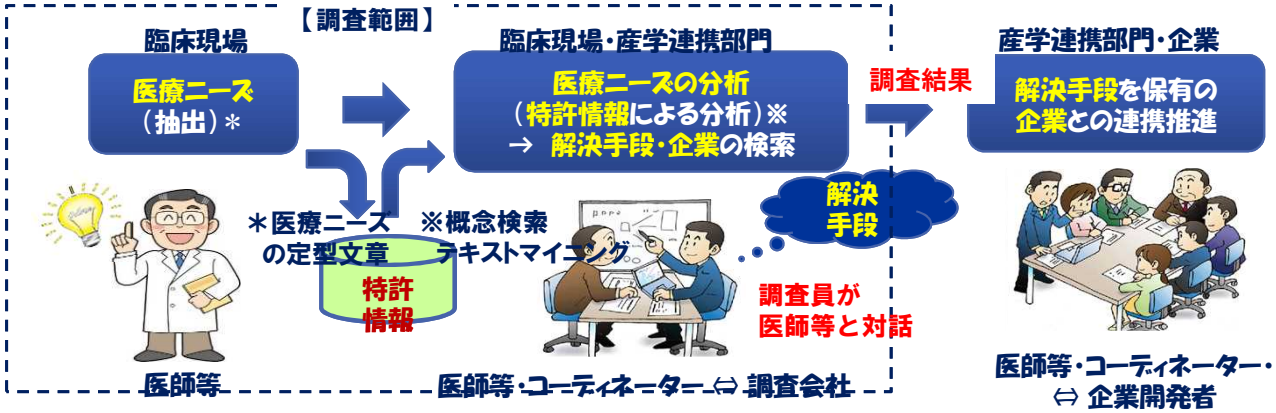
知的財産管理・相談窓口への相談件数

年度	H27	H28	H29	H30	R1
相談件数	197	231	229	315	346

②知的財産取得に向けた研究機関への支援

②-1　適切な知財コンサルテーション実施のための各種調査の実施。

令和元年度は、従前の先行文献調査、ライセンス可能性調査、パテントマップ調査に加え、臨床現場における医療ニーズについて、当該医療ニーズの解決手段となりうる特許を探索することで、臨床現場と当該特許を保有する企業との連携を促す調査を新たな補足調査のメニューとして追加した。



年度	H27	H28	H29	H30	R1
調査件数	-	20	27	43	50

補足調査の実施件数

Ⅰ(1)AMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等 ④実用化へ向けた支援

令和元年度評価
期間実績評価

②-2 大学の知財・産連担当者を対象とした実務的・実践的なセミナー・コース研修の開催の開催

令和元年度は、前年度に引き続き、大学等における知財・産学連携部門の担当者を対象として、成果導出コース、契約交渉コースの研修を実施した。研究者と産学連携担当者がペアとなり、実シーズについて実用化までのプロジェクト計画、企業との連携戦略を実践的に習得する「パートナリング塾」を平成30年度に引き続き実施し、平成30年度のパートナリング塾修了者のうち3課題6名を、OJTとして商談会へ参加させる支援を実施した。

平成28年度／49人	平成29年度／138人	平成30年度／109人	令和元年度／114人
成果導出コース	成果導出コース	成果導出コース	成果導出コース
	基礎、応用	基礎、応用（医薬、医療機器）	基礎、応用（医薬、医療機器）
契約交渉コース	契約交渉コース	契約交渉コース	契約交渉コース
	国内契約、海外契約	国内契約、海外契約	国内契約、海外契約
	創薬塾	パートナリング塾	パートナリング塾

→ OJTとして商談会へ参加

②-3 医療系研究者を対象とした知財教材／知財留意点に係るパンフレットの作成

研究成果の実用のためには、研究者における知財マインドの醸成、知財リテラシーの向上が必要不可欠であるため、医療系学部生・大学院生を対象とした知財教材の作成及び大学等での活用促進と、医療系の研究者を対象とした知的財産に関する留意点をまとめたパンフレットの作成を行った。来年度以降も研究機関における活用を促していく予定。

（平成29年度）知財教材骨子作成
↓
（平成30年度）知財教材　2コマ作成
大学での検証（3校）
↓
（令和元年度）知財教材　12コマ作成
大学での知財教材活用促進

研究機関における活用





医療系の研究者向け
知的財産に関する留意点

・知財活用の意義
・知財活用の誤解
・知財活用の成功事例
・「発明者」になるには

Ⅰ(1)AMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等
④実用化へ向けた支援

令和元年度評価
期間実績評価

③研究成果の導出促進に向けたマッチング機会の提供

③-1　アカデミアシーズと企業ニーズを早期にマッチングするためのWebシステム「AMEDぷらっと®」の活用。

「AMEDぷらっと®」は、大学・研究機関等のシーズと製薬企業等のニーズをマッチングさせるために、平成30年4月から本格稼働したシステムであり、研究機関を直接訪問したり、学会や各種知財セミナー等の機会に宣伝を行った結果、参加機関数、登録シーズともに順調に増加（令和2年3月末時点：参加機関数131者、登録シーズ130件）し、AMEDぷらっと®への掲載により企業とのマッチングが成立した事例が現れる等、具体的な成果を生みつつある。



③-2　展示会、商談会等への参加支援による、企業とのマッチング等の促進。

令和元年度は、平成30年度に引き続き、参加者に対する事前・事後コンサルのほか、海外商談会は英語PR資料の作成、商談同席によるマッチングサポートを実施した上で、DSANJ、BioJapan、BioEuro、MEDICAなど国内外の展示商談会への参加（計6回、のべ59課題）をサポートした。支援対象、課題を厳選するほか、商談会前に実シーズを用いた研究者と導出担当者がペアで受講する研修を行うなどした結果、参加機関の商談スキル向上等により、のべ24課題についてCDA締結に結びつけた。



研究者

・参加者に対するコンサルテーション
（面談企業の探索・目利き、企業との面談に向けた準備、面談後のフォローアップ等）
・英語PR資料の作成
（研究開発技術の説明やデータ等、適切な英語を用いた表現や、秘密情報の有無チェック等）
・商談への同席
（提携交渉において、質問への対応等、スムーズなやりとりをサポート）

- DSANJ
- BioJapan
- BIO Europe
- MEDICA

年度	H27	H28	H29	H30	R1
支援課題	101	60	77	69	59
CDA締結	-	-	18	20	24

展示会・商談会への参加支援



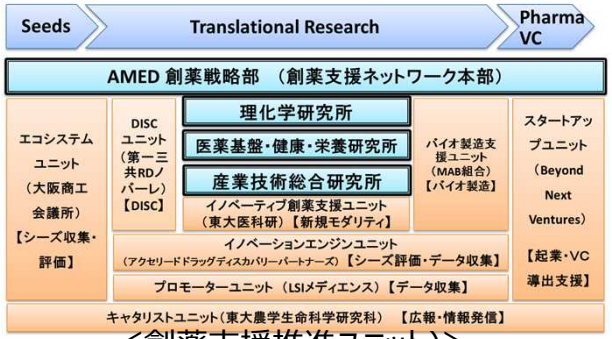
令和2年MEDICAにおけるAMEDブース

Ⅰ(1)AMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等 ④実用化へ向けた支援

令和元年度評価

④研究開発成果の確実な上市に向けた取組

- 創薬支援ネットワーク機能を更に強化する目的で、創薬支援推進事業・創薬シーズ実用化支援基盤整備事業として8つの創薬支援推進ユニットを整備、プロモーターユニット、イノベーションエンジンユニットなどで幅広く採択シーズの支援を実施した。
- 創薬支援ネットワークにおいては、令和元年度のみで3件の導出を達成した。



<創薬支援推進ユニット)>

期間実績評価

④研究開発成果の確実な上市に向けた取組

- 以下のように、シーズ収集能力強化、新たなモダリティへの対応等に積極的に取組み、これまでに9件の企業導出を達成した。
- 創薬支援ネットワークで支援しているテーマの一覧（課題名、研究者、モダリティ、研究フェーズ）を公開しており、支援テーマの導出活動を促進するために支援テーマの概要（創薬コンセプト、知財対応状況、最終目標などのノンコンフィデンシャル情報）も積極的に公開している。
- 「導出に関する基本的な考え方」に基づき、導出先となる製薬企業等のニーズとのミスマッチを避けるため、製薬企業の重点開発領域等やニーズの情報収集を行い、企業導出に向けた取組を進めた。
- 創薬支援に必要な多岐にわたる最新かつ最良の科学技術を保有する産学官の研究開発機関を有機的に結びつけ、創薬支援ネットワーク機能の強化ひいては医薬品創出の推進力を強化するために、創薬研究の推進に資する貴重な民間リソース機能などを活用する「創薬支援推進ユニット」を平成29年度に採択、平成30年度から本格稼働した。



創薬支援ネットワークテーマ公開イメージ（AMED　HPより）

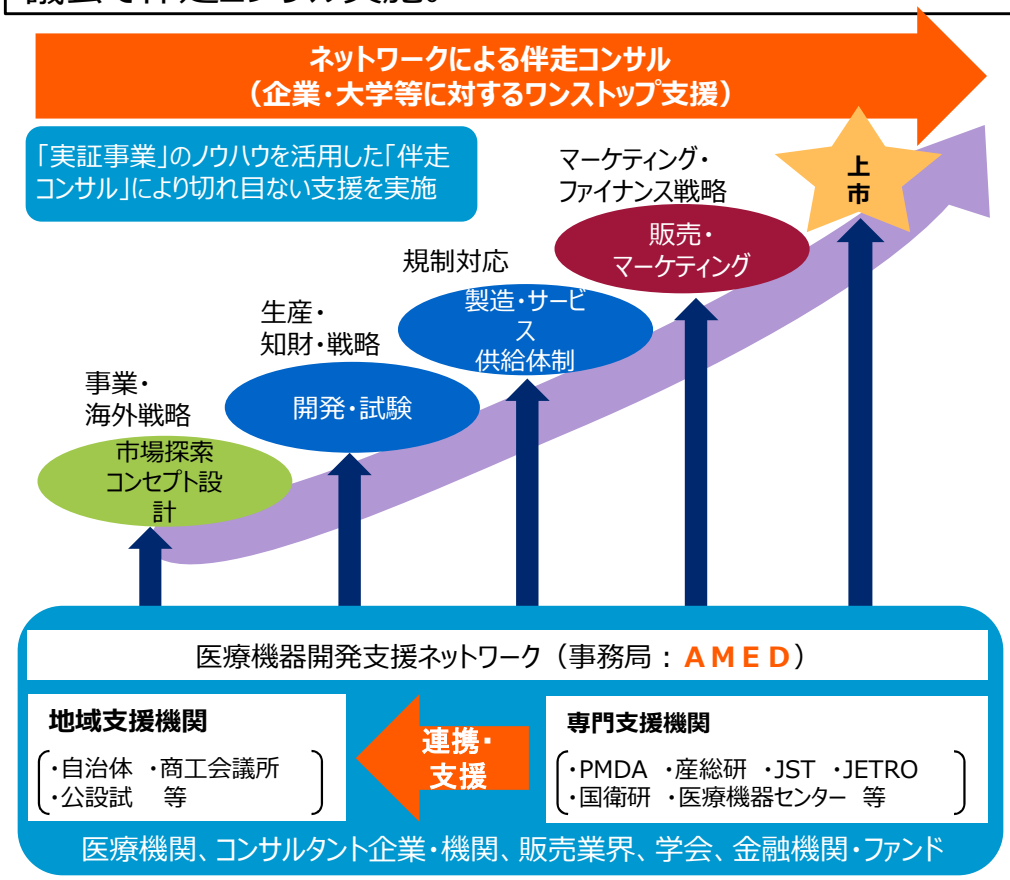
Ⅰ(1)AMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等
④実用化へ向けた支援

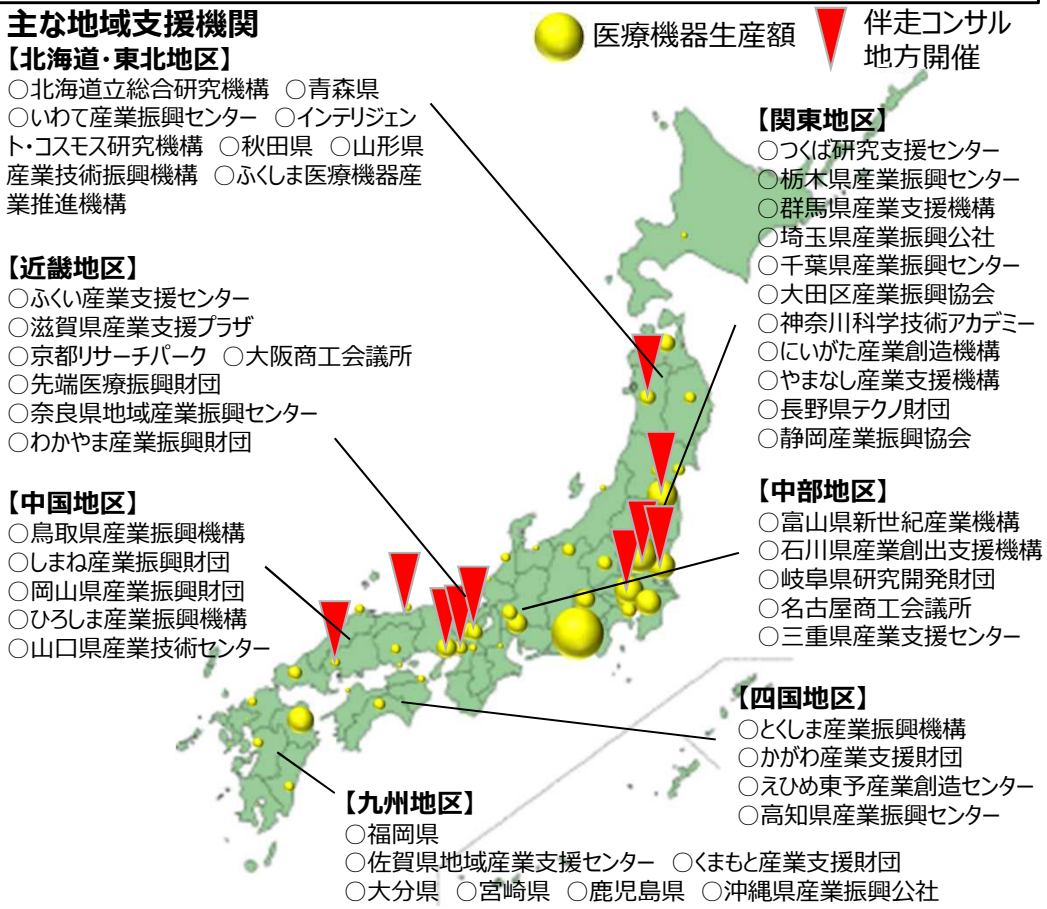
令和元年度評価
期間実績評価

④研究開発成果の確実な上市に向けた取組

・平成26年10月に、**「医療機器開発支援ネットワーク」**を立ち上げ。
・**AMEDを事務局として**、事務局サポート機関と**76の地域支援機関**に**「ワンストップ窓口」**を設置。
・**相談件数は1,690件（うち令和元年度は150件）**に達し、このうち、**伴走コンサルはのべ７７６件（うち令和元年度は135件）**。
・**異業種**（電機電子・自動車部品・素材・化学・光学・製薬等）**から相談も増。**
・**地域連携拠点強化事業**として、ふくしま医療機器産業推進機構、浜松医大、大阪商工会議所、九州ヘルスケア産業推進協議会で伴走コンサル実施。

（令和2年2月27日時点）





Ⅰ(1)AMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等 ④実用化へ向けた支援

令和元年度評価

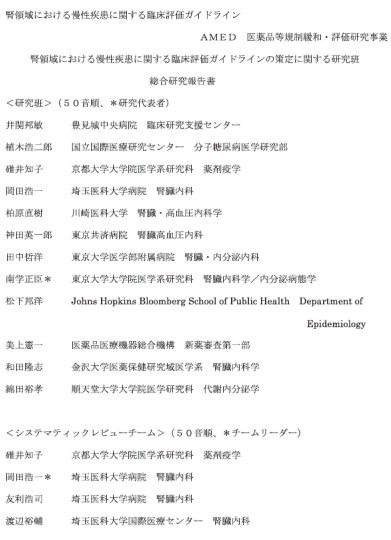
⑥レギュラトリーサイエンス研究の支援

- PMDAとの連携協定に基づき、両機関のハイレベルを含む様々な意見交換・シンポジウムの企画・参加などの連携を実施した。
- レギュラトリーサイエンス研究の観点から、公募する研究の企画立案にあたっては、PMDAや国立医薬品食品衛生研究所などとの意見交換を通じ、国内外の情勢等を把握・参考にした上で対応した。
- 具体的には、「細胞加工製品の造腫瘍性評価試験法および体内動態試験法の標準プロトコル作成と多施設検証を実施し、当局を含めた関係者間で造腫瘍性評価の考え方と試験法におけるコンセンサスを構築、さらに、国際コンソーシアムにて意見交換を行い、留意点文書として発表」、「薬物動態や薬剤応答のモデル解析に関する3種のガイドライン案の策定」等の成果を創出した。

期間実績評価

⑥レギュラトリーサイエンス研究の支援

- 2015年8月に連携協定を締結したPMDAや、国立医薬品食品衛生研究所等との連携により、国内外の情勢等を把握・参考にした上で、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した。また、ハイレベルを含む様々な意見交換・シンポジウムの企画・参加などの連携を進めた。
- 具体的には、「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の作成・公表」、「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の開発」、「医薬品の連続生産に関するPoints to Consider文書の作成・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の取り纏め」、「細胞加工製品の造腫瘍性評価試験法および体内動態試験法の標準プロトコルの作成・検証と国際コンソーシアムからの留意点文書発表」、「薬物動態や薬剤応答のモデル解析に関する3種のガイドライン案の策定」などの成果を創出した。



腎領域における慢性疾患に関する臨床評価ガイドライン

AMED　医薬品等規制緩和・評価研究事業

腎領域における慢性疾患に関する臨床評価ガイドラインの策定に関する研究班

総合研究報告書

＜研究班＞（５０音順、＊研究代表者）

井関邦敏　　豊見城中央病院　臨床研究支援センター

植木浩二郎　　国立国際医療研究センター　分子糖尿病医学研究部

雉井知子　　京都大学大学院医学系研究科　薬剤疫学

岡田浩一　　埼玉医科大学病院　腎臓内科

柏原直樹　　川崎医科大学　腎臓・高血圧内科学

神田英一郎　　東京共済病院　腎臓高血圧内科

田中哲洋　　東京大学医学部附属病院　腎臓・内分泌内科

南学正臣＊　　東京大学大学院医学系研究科　腎臓内科学／内分泌病態学

松下邦洋　　Johns Hopkins Bloomberg School of Public Health　Department of Epidemiology

美上憲一　　医薬品医療機器総合機構　新薬審査第一部

和田隆志　　金沢大学医薬保健研究域医学系　腎臓内科学

綿田裕孝　　順天堂大学大学院医学研究科　代謝内分泌学

＜システマティックレビューチーム＞（５０音順、＊チームリーダー）

雉井知子　　京都大学大学院医学系研究科　薬剤疫学

岡田浩一＊　　埼玉医科大学病院　腎臓内科

友利浩司　　埼玉医科大学病院　腎臓内科

渡辺裕輔　　埼玉医科大学国際医療センター　腎臓内科

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

Ⅰ(1)AMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等 ④実用化へ向けた支援

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

令和元年度評価

・知的財産コンサルタントとAMED知財リエゾンが一体となって、全国の研究機関に対しハンズオンによる知財戦略支援を機動的に行った(令和元年度の相談件数346件）。
・適切な知財コンサルテーション実施のために、先行文献調査、ライセンス可能性調査、パテントマップ調査等の各種調査を実施した。令和元年度は、臨床現場における医療ニーズについて、当該医療ニーズの解決手段となりうる特許を探索することで、臨床現場と当該特許を保有する企業との連携を促す調査を、新たに実施した。
・大学等における知財・産学連携部門の担当者を対象として、知的財産に関する実務的コース研修を実施した。研究者と産学連携担当者がペアとなり、実シーズについて実用化までのプロジェクト計画、企業との連携戦略を実践的に習得する「パートナリング塾」について、平成30年度の修了者をOJTとして商談会へ参加させる支援を実施した。

期間実績評価

・評価期間において、知財相談のためのmedical IP Deskの設置、AMED知財リエゾンの配置、これらによる機動的なハンズオン支援の実施など、コンサルテーション機能を充実化させてきた。
・また、コンサルテーションに必要となる先行技術調査、市場調査、ライセンス可能性調査など各種調査メニューも順次充実化させ、コンサルテーションの質的向上も図ってきた
・さらに、知財コース研修についても、受講者のレベルアップに歩調を合わせ、基礎編から応用編まで、順次内容を拡充し、OJTと組み合わせた研修メニューを実施する等、計画的な人材育成を図ってきた。

Ⅰ(1)AMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等 ④実用化へ向けた支援

評価軸 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。

令和元年度評価

・大学・研究機関等のシーズと製薬企業等のニーズをマッチングさせるためのWebシステム「AMEDぷらっと®」（平成30年4月から本格稼働）について、研究機関の直接訪問、学会や知財セミナー等を通じた宣伝により、参加機関数、登録シーズともに順調に増加し、AMEDぷらっと®への掲載により企業とのマッチングが成立した事例が現れる等、具体的な成果を生みつつある。
・展示会、商談会等への参加支援を通じて、企業とのマッチングを促進する取組について、昨年度に引き続き、参加者に対する事前・事後のコンサルテーション、英語PR資料の作成、商談同席によるサポート等を実施した。
・創薬支援ネットワークでの支援機能の充実を行った（④を参照のこと）。
・「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）。

期間実績評価

・国内外の商談出展支援を継続的に行い、CDAの締結などマッチングの促進につなげてきた。
・また、「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。
・創薬支援ネットワークの各種研究情報の積極的な公開を行うとともに、支援機能、マッチング機能の充実も行った（④を参照のこと）。
・「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）。

Ⅰ(1)AMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等
④実用化へ向けた支援

令和元年度評価
期間実績評価

評価軸 独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）と連携した有望シーズの出口戦略の策定に係る助言機能の具備を図ったか。

・研究者がPMDAへRS戦略相談に行くことにつき研究者から情報提供していただき、PMDAとの連携の一環として可及的に機構職員も同行（⑥を参照のこと）。

＜モニタリング指標＞	H27年度	H28年度	H29年度	H30年度	R1年度
PMDAと連携した出口戦略の策定・助言数	204件	301件	290件	294件	298件

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

- ◆ PMDAのRS戦略相談に該当する可能性のある機構事業を一覧化しPMDAに情報提供。
- ◆ 公募要領作成において、実用化段階に移行する研究課題については、原則的に採択後、PMDAのRS戦略相談を受けることを採択の条件とする他、積極的にRS戦略相談を受けていただくことを明記。
- ◆ 実用化段階に移行する研究課題の委託研究開発契約書において、研究者と協議の上、適切な時期にRS戦略相談の対面助言を受けること、AMED職員は採択課題のRS戦略相談に同席することができること、対面助言の記録について、AMEDが研究者及びPMDAから情報提供を受けることができることを明記。
- ◆ AMED及びPMDA各々の実施する内部研修について、相互に参加できる仕組みを構築。また機構の内部研修にPMDAから講師を招聘し、内部トレーニングを実施した。また、PMDAにおいて実施される科学委員会等に参加できる形を構築し、レギュラトリーサイエンスの最新動向の情報収集を実施。

・平成29年度には、RS研究の観点から公募する研究の企画・立案にあたってのPMDA等との連携、PMDAとの連携によるガイドライン作成・公表などの成果をあげた（⑥を参照のこと）。

Ⅰ(1)AMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等 ④実用化へ向けた支援

令和元年度評価

・(株)INCJと、主に医療機器関連の個別支援案件に関する情報交換を複数回行い、研究成果の実用化の促進を図った。
・(株)産業革新機構は、2018年9月に株式会社産業革新投資機構として新たな活動を開始するとともに、株式会社INCJが同月に(株)産業革新機構から新設分割する形で発足した。こうした当該機構の組織体制および業務内容の改編に伴い、今後の連携方法について、引き続き、協議を行っている。
・ 当該機構に限らず、AMEDが支援したアカデミアシーズやベンチャー企業に対して連携して支援し成果の実用化を促せる施策の検討について、ベンチャーキャピタルを含む他の民間ファンドと意見交換を行った。

期間実績評価

・(株)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)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。
・ 平成30年3月に実施した(株)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)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。
・連絡検討委員会の他、担当者レベルで複数回、(株)産業革新機構の組織改変に伴う今後の連携方法と、AMEDが支援した個別課題の研究開発成果の実用化促進に向けて意見交換を実施している。



平成30年3月6日に実施した連絡検討委員会

Ⅰ(1)AMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等
⑤研究開発の基盤整備に対する支援

令和元年度評価

評定（自己評価）	
B	①**データ・基盤の整備**（BINDS、バイオバンク、MGeNDなど）：研究者が研究用機器やゲノム等のデータにアクセスできる基盤を構築し、その利用を促進した。創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業（BINDS）において、OIST（沖縄科学技術大学院大学）において、クライオ電子顕微鏡研究者育成を目的とした若手人材育成プログラムを開始、「Nature」誌掲載などクライオ電子顕微鏡を使った研究成果も創出。また、バイオバンクの利活用促進のため、試料・情報のデータベース化や検索システムの開発、運用に努め、従来実績を多く上回る配布を行った。さらに、日本人に特有の疾患感受性ゲノム変異のデータベース（MGeND：臨床ゲノム情報統合データベース）への登録の枠組みを構築しその拡充のため、遺伝子検査、学会、他事業との連携を整備等を行うとともに、加えて、「データシェアリングポリシー」に基づき、AMED他事業（IRUDおよびRADDAR-J）と連携してMGeNDのデータ登録数を拡充した。②**革新的医療技術創出拠点**：拠点間の情報共有やサイトビジットによる改善指導等を実施した。③**若手育成**：若手の定義を統一し、若手研究者が代表者となることを条件とする公募を行うなどの取組を着実に実施し、支援課題数を平成27年度比で6.8倍に増加させた。④**PPI**：PPI調査の成果に基づき、研究への患者・市民参画（PPI）の啓発活動に注力した。また、AMEDの事業の成果と将来展望を周知するため「AMEDシンポジウム」を令和元年12月に開催した。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る。

①研究開発のためのデータ・基盤の整備

①-1 創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業（BINDS）において、「Nature」誌掲載などクライオ電子顕微鏡を使った研究成果が創出。また、国内で不足するクライオ電子顕微鏡研究者育成を目的とし、OIST（沖縄科学技術大学院大学）における若手人材育成プログラムを開始。

①-2次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業（バイオ医薬品の高度製造技術の開発）において、国産の高性能な抗体生産用CHO細胞を用いた各企業との協働開発開始、さらに連続培養に成功した。

①-3 ゲノム研究バイオバンク事業として、これまでに構築したバイオバンクジャパンの試料・情報の利活用を促進するための広報活動を実施（学会出展等：12件、説明会等：8件）。さらに、試料・情報をユーザーへ効果的に分譲するため他事業により3大バイオバンク等の試料・情報の横断的な検索を可能とする「バイオバンク横断検索システム」との連携や、試料等の利用審査会にWEB審査システムを導入し効率化を実現するなど、更なる利活用促進へと繋がる取組を行ったことで、令和元年度は従来の実績を上回る配布を行った。（DNA14,146件、血清1,274件、臨床情報・ゲノム情報363,633件、検索システム利用833件）。また、令和元年度より、バンク試料の活用幅を広げるため、血清パネルの配布を開始した。

①-4 臨床ゲノム情報統合データベース整備事業では、日本人集団の疾患関連バリアントを共有しゲノム医療の実践を目指す臨床ゲノム情報統合データベース（MGeND）のデータ収集体制の拡充のため、遺伝子検査、学会、他事業との連携を整備することにより、事業終了後の安定した運用へ向けた基盤強化を進めた。加えて、「データシェアリングポリシー」に基づき、AMED他事業（IRUDおよびRADDAR-J）と連携してMGeNDのデータ登録数を拡充。さらには、C-CATと連携してパネル検査で報告されるバリアント情報をMGeNDに登録する方法について検討を開始した。

②革新的医療技術創出拠点の強化・体制整備

②−1　拠点の強化・体制整備を行うため、全体会議による拠点間の情報共有やサイトビジットによる改善指導・助言等を実施。

②−2　臨床研究実施に必要なモニタリングや監査、プロジェクトマネジャー、知財・産学連携、ベンチャー支援担当、開発人材の育成について拠点間のネットワーク作りを促進。

③若手研究者の育成

③-1　若手研究者が研究開発代表者となって研究を推進 する課題の公募・採択、若手研究者の登用に要する経費についての支援 を推進、若手育成枠の課題数は平成27年度に対し令和元年度においては6.8倍に増加。

③-2　若手研究者の革新的な発想を基にした医療分野の新たなシーズの創出を目的として、Interstellar Initiativeにおいては、健康長寿分野において国際公募を実施し、世界中から優秀な若手独立研究者（PI）31名を採択した。

④研究への患者・市民参画（PPI）等

④-1「患者・市民参画（PPI）ガイドブック～患者と研究者の協働を目指す第一歩として～」の作成・公開

④-2 研究開発提案書および成果報告書のフォーマットにPPIの取組に関する任意記載欄を設置するとともに、記載内容について機構内で集約・分析

④-3 PPIに関する啓発活動（AMED主催で2回のワークショップを実施するとともに、複数の学会・研究会等にて講演）

④-4　AMEDの事業の成果と将来展望を周知するため「AMEDシンポジウム」を令和元年12月に開催。

Ⅰ(1)AMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等
⑤研究開発の基盤整備に対する支援

期間実績評価

評定（自己評価）
A

①**データ・基盤の整備**（BINDS、バイオバンク、MGeNDなど）：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・臨床情報や健常者データについて公開・提供条件を整備し提供。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。②**革新的医療技術創出拠点**：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。③**若手研究者育成**：若手の定義を統一し、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年度に対し令和元年度は6．8倍に増加）。④**PPI**：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。
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。

	H27	H28	H29	H30	R1	見込	期間
自己評価	A	A	B	A	B	A	A
主務大臣評価	A	A	B	A		A	

①研究開発のためのデータ・基盤の整備

①-1創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業（BINDS）において、全国の大学・研究機関参加のもとでクライオ電子顕微鏡、放射光施設、化合物ライブラリーなどの大型施設や装置を原則無料で利用できるよう支援。利用者のユーザビリティ向上のため、支援窓口を一本化し、BINDS傘下の計60課題についてワンストップサービスを構築した。また、国内で不足するクライオ電子顕微鏡研究者育成を目的とし、OIST（沖縄科学技術大学院大学）における若手人材育成プログラムを開始。これら取り組みにより、BINDS開始からの3年間で前身の事業（5年間）の累積支援件数約1,000件を上回る2,030件の支援を達成。

①-2 ゲノム研究バイオバンク事業として、これまでに構築したバイオバンクジャパンの試料・情報の利活用を促進するための広報活動を実施（学会出展等：12件、説明会等：8件）。さらに、試料・情報をユーザーへ効果的に分譲するため他事業により3大バイオバンク等の試料・情報の横断的な検索を可能とする「バイオバンク横断検索システム」との連携や、試料等の利用審査会にWEB審査システムを導入し効率化を実現するなど、更なる利活用促進へと繋がる取組を行ったことで、令和元年度は従来の実績を上回る配布を行った。（DNA14,146件、血清1,274件、臨床情報・ゲノム情報363,633件、検索システム利用833件）。

①-3　臨床ゲノム情報統合データベース整備事業にでは、日本人集団の疾患関連バリアントを共有しゲノム医療の実践を目指す臨床ゲノム情報統合データベース（MGeND）のデータ収集体制の拡充のため、遺伝子検査、学会、他事業との連携を整備することにより、事業終了後の安定した運用へ向けた基盤強化を進めた。加えて、「データシェアリングポリシー」に基づき、AMED他事業（IRUDおよびRADDAR-J）と連携してMGeNDのデータ登録数を拡充。さらには、C-CATと連携してパネル検査で報告されるバリアント情報をMGeNDに登録する方法について検討を開始。

①-4　研究者、国民がインターネットでAMEDが支援する研究課題の情報を検索、閲覧できるシステム（AMEDfind）を平成30年6月に公開。

②革新的医療技術創出拠点の強化・体制整備

②-1　拠点の強化・体制整備を行うため、全体会議による拠点間の情報共有やサイトビジットによる改善指導・助言等を実施。

②-2　臨床研究に必要なモニタリングや監査、プロジェクトマネジャー、知財・産学連携、ベンチャー支援担当、開発人材の育成について拠点間のネットワーク作りを促進。

③若手研究者・研究支援者の育成

③-1　若手研究者が研究開発代表者となって研究を推進する課題の公募・採択、若手研究者の登用に要する経費についての支援を推進、若手育成枠の課題数は平成27年度に対し令和元年度においては6.8倍に増加。

③-2　ニューヨーク科学アカデミー（NYAS）と協力し、多国籍で学際的な若手研究者のチームを編成し、若手育成国際ワークショップ”Interstellar Initiative”を平成29年度に実施。平成30年度には、若手研究者の革新的な発想を基にした医療分野の新たなシーズの創出を目的として事業化し、若手研究者による国際共同研究を推進。令和元年度は、健康長寿分野において国際公募を実施し、世界中から優秀な若手独立研究者（PI）31名を採択。

③-3　原則全事業に提出を義務づけるデータマネジメントプランにデータサイエンティストを記載させ、公表する仕組みを構築し、データサイエンティストの育成にも貢献。

④研究への患者・市民参画（PPI）等

④-1「患者・市民参画（PPI）ガイドブック～患者と研究者の協働を目指す第一歩として～」の作成・公開

④-2 研究開発提案書および成果報告書のフォーマットにPPIの取組に関する任意記載欄を設置するとともに、記載内容について機構内で集約・分析

④-3 PPIに関する啓発活動（AMED主催で2回のワークショップを実施するとともに、複数の学会・研究会等にて講演）

④-4　AMEDの事業の成果と将来展望を周知するため「AMEDシンポジウム」を平成29年5月及び令和元年12月に開催。

Ⅰ(1)AMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等
⑤研究開発の基盤整備に対する支援

令和元年度評価
期間実績評価

①－1　創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業（BINDS）

事業概要

高度な技術を有する最先端研究者による支援や大型施設・装置の原則無料での利用等により、大学・研究機関等による研究等を支援する。こうした支援により、我が国の幅広いライフサイエンス研究の成果を医薬品等としての実用化につなげることを目指す。

事業概要

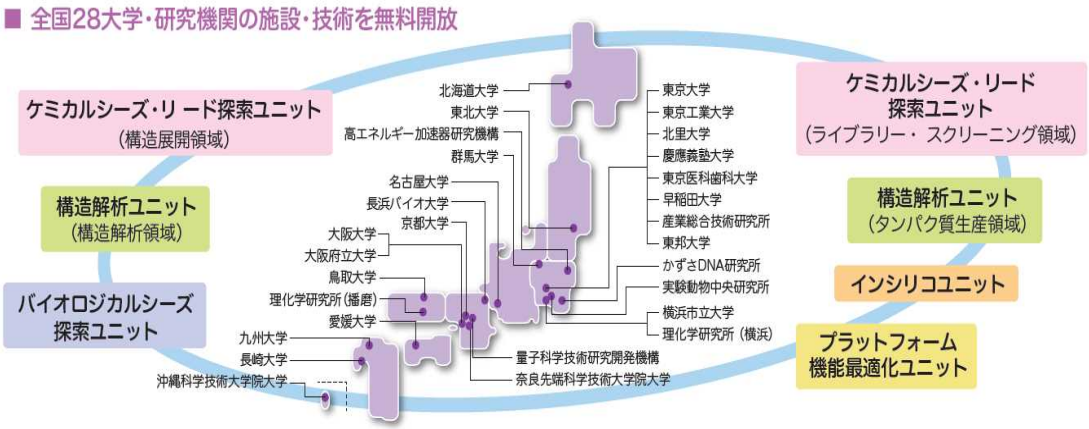
全国の研究者に以下の研究支援を行う。

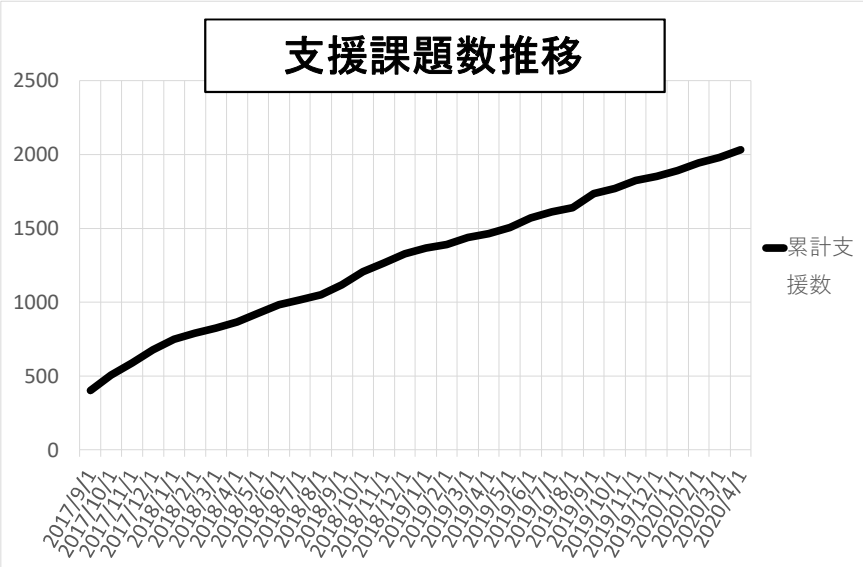
①大型施設・装置の原則無料利用

・利用可能な施設・装置（クライオ電子顕微鏡、放射光施設、化合物ライブラリ、次世代シーケンサ）

②最先端研究者によるサポート

「ケミカルシーズ・リードユニット」、「構造解析ユニット」、「バイオロジカルシーズ探索ユニット」、「インシリコユニット」、「プラットフォーム機能最適化ユニット」の５ユニットによる多角的な研究支援





Ⅰ(1)AMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等
⑤研究開発の基盤整備に対する支援

令和元年度評価

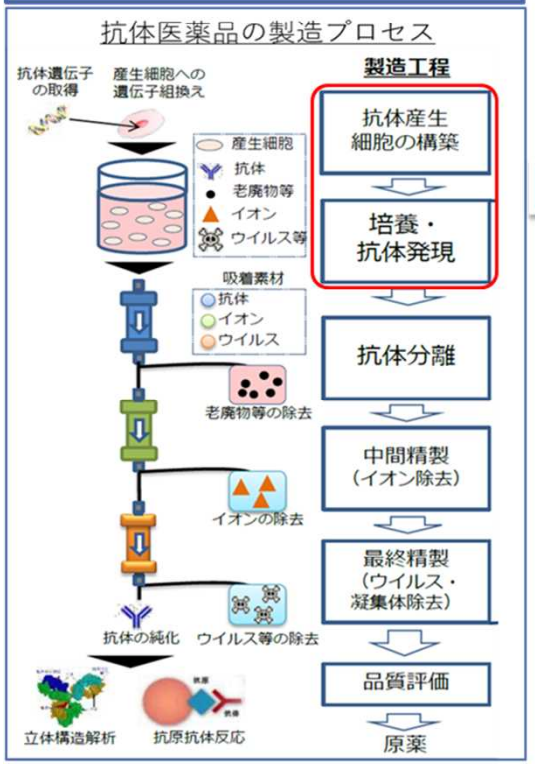
AMED

①－2「次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業等（バイオ医薬品の高度製造技術の開発）」

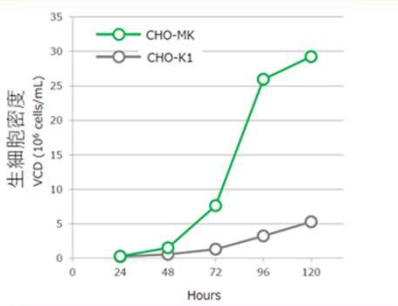
・バイオ医薬品の高度生産に関する高性能な国産CHO細胞株（CHO-MK）を開発
・バイオ医薬品製造への国産CHO株の利用に向けて複数企業との協働開始

バイオ医薬品製造の現状	課題	取り組み
大量製造から少量多品種製造へ バイオシミラーの増加	製造プロセス開発期間の短縮、製造コスト・製造期間削減が求められている	高性能抗体産生細胞株の開発 連続生産技術の開発（省スペース、スケールアップ不要）
製造プロセス・要素技術を 欧米企業が独占	高価な製造機器、細胞株ライセンス費用の高騰、製造プロセス開発の遅延	産生細胞構築技術を含む「上流プロセス」から「下流プロセス」の各要素技術開発・製品化とプラットフォーム化

要素技術開発と統合



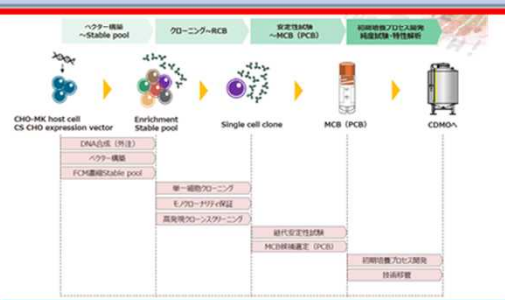
国産の高性能な抗体産生細胞CHO-MK株を開発



ATCC株CHO-K1と比較して
速い細胞増殖・高密度培養



短期間で
高い抗体産生量を達成



抗体医薬品産生細胞株の構築と
培養プロセス開発にかかる
期間の大幅短縮

商用生産時の
高額なライセンス費用の回避

抗体生産性の大幅向上
（培養時間と容積の削減・高生産量）

**複数企業・アカデミアと
抗体医薬品製造の協働開発を開始し、
CHO-MKを軸とした製造プラットフォームの社会実装とアカデミア創薬を推進。**

Ⅰ(1)AMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等
⑤研究開発の基盤整備に対する支援

令和元年度評価
期間実績評価

①－3バイオバンクの構築に向けた患者のDNA・臨床情報の収集

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

バイオバンク機能
（BBJ）


DNA保管庫
（200万検体）


血清・組織保管庫
（300万検体）


サーバー
（臨床情報・解析データ）

○51疾患、27万人（44万症例）の生体試料（DNA、血清等）や臨床情報・ゲノム情報の維持・管理
○外部機関への生体試料等の配布
○他のバイオバンク等の試料の受け入れ・管理・提供

BBJの活用

バンキング・横断検索※等

※ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業において実施

研究開発
（ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業等）
大学・研究機関

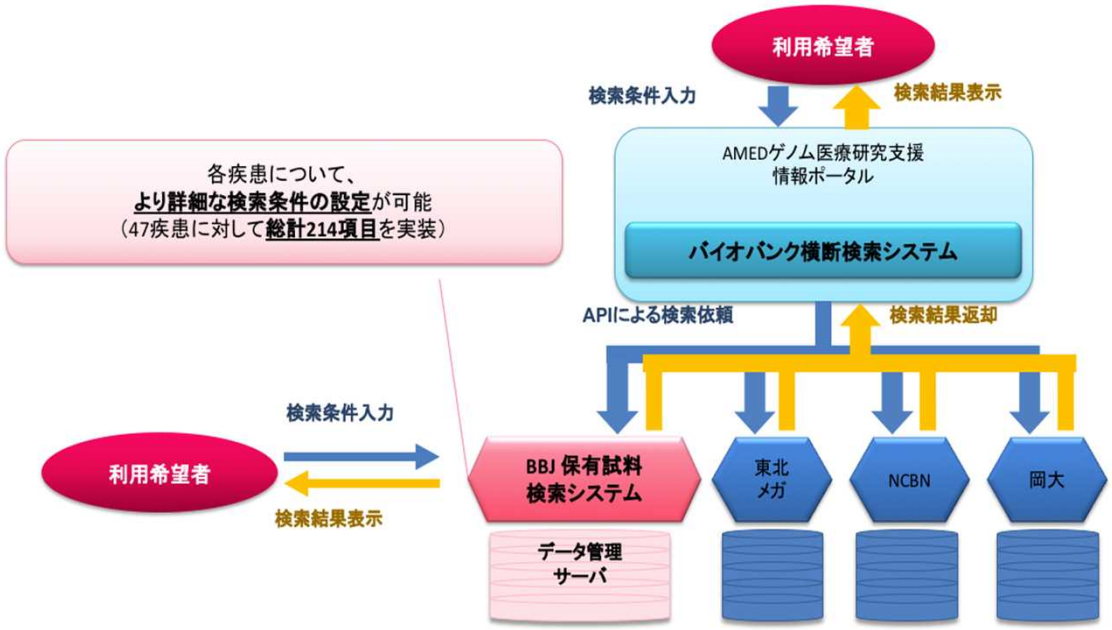
バイオバンク間の連携
東北メディカル・メガバンク
ナショナルセンター
バイオバンクネットワーク
他バイオバンク

・平成25年度から平成29年度末までに、12医療機関の協力を得て、38疾患について患者よりDNA及び臨床情報を収集し（第2コホート）、臨床情報のクリーニングを行った。（H25からの累計同意取得数：68,516件、DNA採取数：67,334件）
・既に平成29年度中に18.2万人分、約90万箇所のSNP情報をNBDCを通じて公開済みで、平成30年度中には、全ゲノムシークエンス1,000名分及び乳がん関連遺伝子シークエンス30,000人分についても公開した。さらに理化学研究所にて解析済みの心筋梗塞1,800名、認知症200名の全ゲノムデータも順次公開した。
・バイオバンク検体のタンパク質品質評価の指標やその測定法についてはこれまで国際標準が存在していなかった。100検体の血清・血漿検体のタンパク質の品質評価マーカーを最先端のプロテオミクス技術を用いて開発し、高精度かつ迅速に評価できる測定法を確立した。
・病理学会と連携し、ゲノム病理標準化センターにおいて「ゲノム研究用病理組織検体取扱い規程」の発行と講習会を開催した（参加者数計366名）

Ⅰ(1)AMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等
⑤研究開発の基盤整備に対する支援

令和元年度評価
期間実績評価

①－３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・運用（ゲノム研究バイオバンク事業）



バンク試料の活用幅を広げるため、コントロールやスクリーニング目的としても利用できるように、血清パネル試料として100μl単位の提供をおこなうこととし、令和元年度から配布を開始した。

血清パネルリスト（2019.4 配布開始予定）

膵がん	乳がん	不安定狭心症	アトピー性皮膚炎
胆嚢胆管がん	卵巣がん	不整脈	ケロイド
子宮頸がん	多発性骨髄腫	心不全	薬疹
子宮体がん	非ホジキンリンパ腫	閉塞性動脈硬化症（ASO）	緑内障
肝がん（HBV）	B型慢性肝炎	糖尿病	白内障
肝がん（HCV）	C型慢性肝炎	高脂血症	バセドウ病
肺がん（小細胞癌）	肝硬変（B型慢性肝炎合併）	子宮内膜症	関節リウマチ
肺がん（腺癌）	肝硬変（C型慢性肝炎合併）	てんかん	花粉症
肺がん（扁平上皮癌）	脳梗塞（アテローム血栓症）	気管支喘息	熱性けいれん
肺がん（大細胞癌）	脳梗塞（心原性塞栓症）	肺結核	歯周病
食道がん	脳梗塞（ラクナ梗塞）	COPD	肺線維症・間質性肺炎
胃がん	脳動脈瘤	ネフローゼ症候群	がん症例は、他のがんの合併なし且つ担癌状態の血清 非がん症例については、該当疾患以外の登録なし
大腸直腸がん	心筋梗塞	尿路結石症	
前立腺がん	安定狭心症	骨粗鬆症	

○これまでに構築した疾患バイオバンク：バイオバンク・ジャパン(BBJ)の試料と情報をユーザーへ効果的に分譲するため、試料等利用審査会にWEB審査システムを導入し、効率化を実現。従来の実績を大きく上回る分譲を行った（**DNA14,146件、血清1,274件、臨床情報・ゲノム情報363,633件、検索システム利用833件**）。また、臨床情報データベースの整備の一環として、登録疾患情報の国際標準化対応（ICD-10導入）を進めている。

Ⅰ(1)AMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等
⑤研究開発の基盤整備に対する支援

令和元年度評価
期間実績評価

②革新的医療技術創出拠点の強化・体制整備

②-1　拠点の強化・体制整備を行うため、全体会議による拠点間の情報共有やサイトビジットによる改善指導・助言等を実施

連携拠点
連携拠点
連携拠点
連携拠点
連携拠点
連携拠点
連携拠点



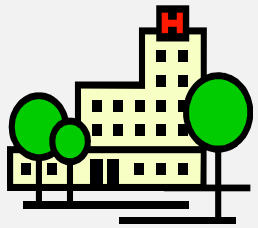
橋渡し拠点

シームレスな連携による創薬の効率的開発支援

シーズ開発
非臨床から臨床ステージまでシーズ開発を支援

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

臨床研究実施医療機関
臨床研究実施医療機関
臨床研究実施医療機関
臨床研究実施医療機関
臨床研究実施医療機関



臨床研究中核病院
生物統計、モニタリング監査、特許・知財、等々の支援機能

UMIN CRTによると2017年の介入臨床研究（Ph2～Ph3）の3割近くが中核病院が実施

臨床研究の実施を支援
ARO機能による臨床研究の直接的支援
認定臨床研究審査委員会による間接的な支援

AMEDによる一貫した　画期的な新薬創生のための開発支援体制の整備

Ⅰ(1)AMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等
⑤研究開発の基盤整備に対する支援

令和元年度評価
期間実績評価

③－１　若手研究者の育成

事業数

	平成30年度※	令和元年度※
全事業数	81事業	80事業
うち若手育成枠※※を設定する事業数	24事業	23事業

支援課題数（新規採択課題、前年度以前からの継続課題を含む）

	平成30年度※	令和元年度※
総課題数（a）	2，338件	2，328件
うち、若手育成枠※※の課題数（b）	214件 （対27年度※※※5．5倍）	266件 （対27年度※※※6．8倍）
（b/a）	（9．2%）	（11．2%）

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

	平成30年度※	令和元年度※
全事業の応募数	3，769件	3，691件
うち、若手育成枠※※の応募数	590件	517件
全事業の採択数	775件	713件
（採択率）	（20．6%） （775件/3,769件）	（19．3%） （713件/3,691件）
うち、若手育成枠※※の採択数	137件	124件
（採択率）	（23．2%） （137件/590件）	（24．0%） （124件/517件）

※当該年度予算で公募、契約・交付決定したもの
※※平成29年度途中までは、「年度開始日で満40歳未満（一部事業で44歳以下など若干ばらつきがあった）」。平成30年度から「年度開始日で満40歳未満または博士号取得後8年未満」。*女性は43歳未満
※※※27年度は39件

Ⅰ(1)AMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等
⑤研究開発の基盤整備に対する支援

期間実績評価

③－１　若手研究者の育成

「若手研究者」における定義の見直し（平成29年10月、令和元年7月）

	～平成29年度	平成30年度～	令和2年度～
若手の定義	年度開始日で**満40歳未満** （一部事業で44歳以下、研究歴を考慮、女性は緩和、など若干ばらつきがある）	年度開始日で**満40歳未満＊** または **博士号取得後8年未満**	年度開始日で**満40歳未満＊** または **博士号取得後10年未満**
産休・育休（男女とも）の扱い	**満40歳未満制限にその日数を加算可能**	**満40歳未満＊制限にその日数を加算可能**	**満40歳未満＊制限にその日数を加算可能**

＊女性では次項により満43歳未満

女性研究者に対するポジティブアクション

女性研究者については、上記の定義に**プラス3歳**（すなわち、満43歳未満）とする。

※これは、女性研究者のキャリア形成上不利な現状を踏まえた、ポジティブアクションであり、
産休・育休とは独立のものとする。

以上の定義は、原則とし、事業や公募の特殊な事情によって、これ以外の定義を用いることは排除しない。
また、この定義は令和4年度に必要な際は見直しを行う。

③－2Interstellar Initiativeを実施し、若手研究者による国際的かつ学際的共同研究を推進

令和元年度評価
期間実績評価

若手研究者による国際的かつ学際的共同研究を推進

- 世界中から若手研究者を公募し、日本人をリーダーとする国際的・学際的チームを構成。各チームはメンターの指導のもと、医療分野の難課題解決に向けた研究計画を立案し、国際グラントの獲得を経て国際共同研究を実施。平成元年度は事業を通じて、全米科学アカデミー（NAM）のHealthy Longevity Global Grand Challenge事業への登録課題を選定した。
- 11組の国際的かつ学際的チームを形成し、国内外の著名な研究者をメンターに実施した国際ワークショップ（9月、2月）や予備的研究を通じて、医療分野の新規シーズの創出（研究計画の立案）を推進
- これらの若手研究者チームは、今後、完成した研究計画で国際的な研究グラント（HFSP、全米医学アカデミーのHealthy Longevity Global Grand Challenge 等）に応募し、国際共同研究につなげていくことが期待される。


写真：ワークショップ参加者集合

第一回ワークショップ：研究計画立案

→ メンターの指導・助言/更なる計画の練り上げ/予備検証実験等のフィージビリティ研究の実施

第二回ワークショップ：研究計画完成

→ 国際的な研究資金への応募・獲得/国際共同研究の実施/新規分野等創出、国際共著論文増等の成果

◆平成元年度公募実績

応募数	書類審査数	採択数	採択率
94	64	30	46．9%

◆平成元年度に採択された31名の国別内訳

日本	米国	シンガポール	カナダ	イスラエル	イタリア	ナイジェリア	ポルトガル
10	11	3	2	2	1	1	1

これまでの成果

- 平成29年試行時の参加20チーム中9チームが国際グラントへ応募。
- 応募した国際グラントはHFSP含め12事業。
- また、Interstellar Initiativeの共同研究者との共著論文を執筆中の参加者あり。

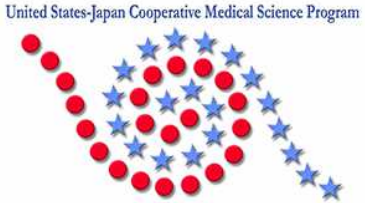
◆国際グラント応募状況（*2019年8月時点）

開催年度	H29年度（試行開催）	H30年度	H31/R1年度
グラント応募件数	１２件*	８件*	準備中**

**9チームがNAM（全米医学アカデミー）のHealthy Longevity Grand Challenge Catalyst Award登録へ向け準備中。

米国と若手・女性公募を実施

- 第4回目の「日米医学協力計画の若手・女性育成のための共同研究公募」を感染症分野にて、米国NIAIDと共に実施した。国際共同研究9課題を推進した。



③－2Interstellar Initiativeを実施し、若手研究者による国際的かつ学際的共同研究を推進

令和元年度評価
期間実績評価

若手研究者による国際的かつ学際的共同研究を推進

- がんとニューロサイエンスを主要分野、AI・コンピュータサイエンスを重点分野に、NYAS（ニューヨーク科学アカデミー）と共同して国際公募を実施し、世界中から優秀な若手独立研究者（PI）30名を採択
- 10組の国際的かつ学際的チームを形成し、国内外の著名な研究者をメンターに実施した国際ワークショップ（6月、1月）や予備的研究を通じて、医療分野の新規シーズの創出（研究計画の立案）を推進

第一回 ワークショップ

研究計画立案





写真左：チームディスカッションの様子

写真右：ワークショップ参加者集合写真

メンターの指導・助言/更なる計画の練り上げ/予備検証実験等のフィージビリティ研究の実施

第二回 ワークショップ

研究計画完成



ベストプレゼンテーション賞表彰式の様子
写真左：がん分野最優秀チーム（日本・米国・カナダ）
写真右：脳・神経疾患分野最優秀チーム（日本・ドイツ・米国）

国際的な研究資金への応募・獲得/国際共同研究の実施/新規分野等創出、国際共著論文増等の成果

◆H30年度公募実績

応募数	書類審査数	採択数	採択率
98	68	30	44．1%

◆H30年度に採択された30名の国別内訳

日本	米国	ドイツ	シンガポール	英国	カナダ
12	4	4	4	3	3

※平成31年度公募は“Healthy Longevity（健康長寿）をテーマに平成31年3月27日～5月16日で実施中

これまでの成果

- 平成29年試行時の参加20チーム中9チームが国際グラントへ応募。
- 応募した国際グラントはHFSP含め12事業。
- また、Interstellar Initiativeの共同研究者との共著論文を執筆中の参加者あり。

◆HFSPへの応募状況（2019年2月末時点）

	2018年募集（2019年採択）	2019年募集（2020年採択）
研究グラント	4名	1名 ※但し書類作成中の段階
若手グラント	1名	0名

Ⅰ(1)AMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等
⑤研究開発の基盤整備に対する支援

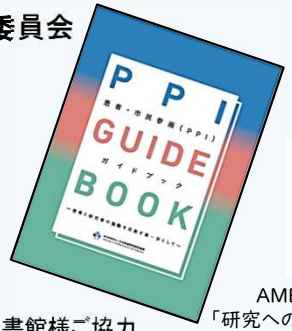
令和元年度評価
期間実績評価

④研究への患者・市民参画（PPI：Patient and Public Involvement）

患者・市民参画（PPI）ガイドブック～患者と研究者の協働を目指す第一歩として～

監修：「臨床研究等における患者・市民参画に関する動向調査」委員会
原案：武藤 香織 先生、東島 仁 先生、藤澤 空見子 先生
平成31年3月31日初版完成、同年4月22日公開
https://www.amed.go.jp/ppi/guidebook.html

- A3版（見開き）
- A4版（タブレット端末向け）
- テキスト版※（視覚障害のある方向け）　※社会福祉法人日本点字図書館様ご協力



AMED公式ウェブサイト
「研究への患者・市民参画（PPI）」
患者・市民参画（PPI）ガイドブック

AMED主催「医学研究・臨床試験における患者・市民参画（PPI）ワークショップ」



令和元年5月21日10:00-12:30　AMED201会議室

- AMEDにおける「患者・市民参画（PPI）」
- 医療や医学研究に患者・市民が参画するということ
- 「患者・市民参画（PPI）ガイドブック」解説
- 実践ワークショップ「医療研究開発におけるPPI推進のためにできること」

研究者、患者・市民、PS・PO、役所、関連法人、AMED役職員等約80名が参加

AMEDシンポジウム2019　ワークショップ「医療研究開発における患者・市民参画」

令和元年12月13日10:20-11:40

- 「患者・市民参画（PPI）」とは―国内動向を中心に―
- 患者の立場から見た医療研究開発におけるPPI
- 学会としての医療研究開発におけるPPIの取組
- 製薬業界における患者の声を活かした医薬品開発



2019年度以降の事業に係る公募の際に使用する　研究開発提案書および成果報告書のフォーマットに、PPIの取組に関する任意記載欄を設置

研究開発提案書フォーマット

6　特記事項

（この項目は、AMEDとして概要を把握するために記載していただくもので、別途公募要領に特記事項として条件が付されない限りは、採否に影響はありません。なお、今後のAMED事業運営に資する研究動向の分析等に利用させていただくとともに、　研究開発課題が特定されないかたちで（例：事業やプログラムごとの単位等で）分析結果を公開させていただく場合があります。）

ヒトを対象とした介入研究や観察研究等における、患者・市民参画（PPI：patient and public involvement）の取組（予定を含む）を　行っている場合には、その実施方法等について記載して下さい。

PPIの取組啓発を目的とした学会・研究会等での講演等

学会・研究会等	日時
第17回日本臨床腫瘍学会学術集会 会長企画パネルディスカッション「臨床試験への患者参画」	令和元年7月20日
第9回レギュラトリーサエインス学会学術大会 シンポジウム「患者と共に進める医薬品開発の現状と課題」	令和元年9月6日
順天堂大学医学部附属順天堂医院　臨床研究・治験センター 「臨床研究研修会」	令和元年9月10日
第10回日本製薬医学会年次大会 JAPhMed法人化10周年記念シンポジウム「未来の患者中心医療」	令和元年9月20日
VHO-net PPI学習会	令和元年10月6日
日本医師会治験促進センター 「令和元年度　治験推進地域連絡会議」（福岡・大阪・東京）	新型コロナウイルスのため動画配信に

この他、新聞社等の取材についても積極的に引き受け、情報発信

Ⅰ(1)AMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等
⑤研究開発の基盤整備に対する支援

令和元年度評価
期間実績評価

④−2　AMEDシンポジウム

1．開催趣旨

AMEDの「医療分野の研究成果を一刻も早く実用化し、患者さんのもとに届ける」という使命を果たすためにAMEDがどんな成果をあげてきたのか、その先にはどんな展望が開けているのかについて、国民及び関係者に伝えるため、第１期中長期計画期間の中間年、最終年に該当する平成29年（2017年）及び令和元年（2019年）に、それぞれ合同シンポジウムを開催した。

2．開催日時：AMEDシンポジウム2017　平成29年（2017年）5月29日（月）、30日（火）
AMEDシンポジウム2019　令和元年（2019年）12月12日（木）、13日（金）

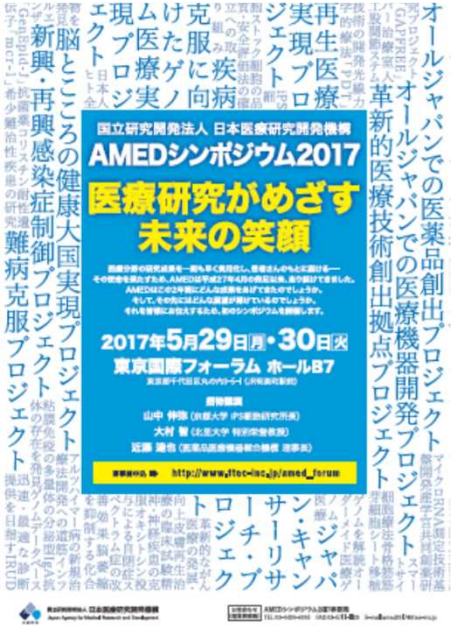
3．開催場所：東京国際フォーラム

4．主なプログラム

- 基調講演（内閣官房　健康・医療戦略室）
- 招待講演
  AMED2017　山中伸弥京都大学iPS細胞研究所所長、大村智北里大学特別名誉教授、近藤達也医薬品医療機器総合機構
  AMED2019　大隅良典東京工業大学科学技術創成研究院特任教授、本庶佑京都大学高等研究院副院長

※　職名は講演当時

- 成果報告（各事業の研究代表者から成果を発表）
- 各界有識者によるパネルディスカッション
- ワークショップ
- プロジェクト紹介パネル展示　等





④-2　AMEDシンポジウム

5. 開催結果

(1) 参加者数：AMEDシンポジウム2017　1223名、AMEDシンポジウム2019　1182名

(2) アンケート結果概要

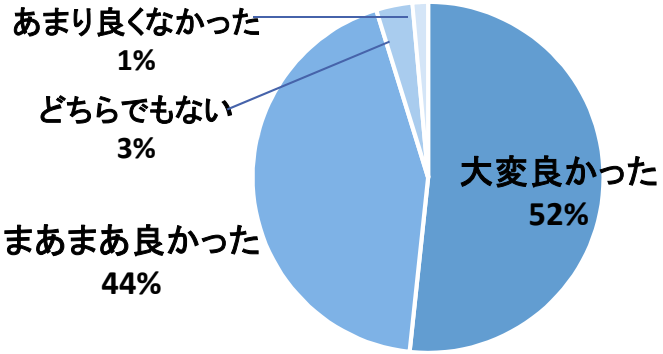
◆アンケート回答者

一般、研究者（大学等）、研究者（企業等）、公的機関、製薬業関係者、医療機器等製造業関係者等幅広い属性が参加。

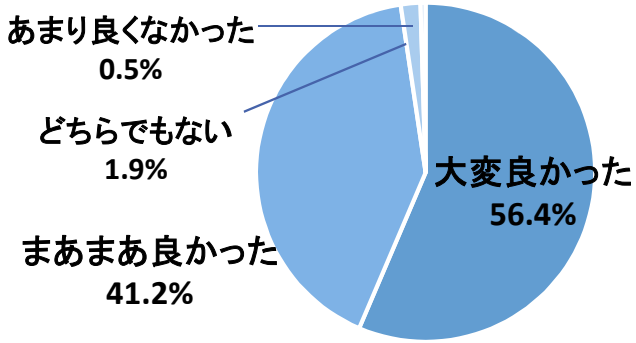
◆本シンポジウムの総合評価

シンポジウムの総合評価は、95%以上が「大変良かった」、「まあまあ良かった」と回答。

AMED2017



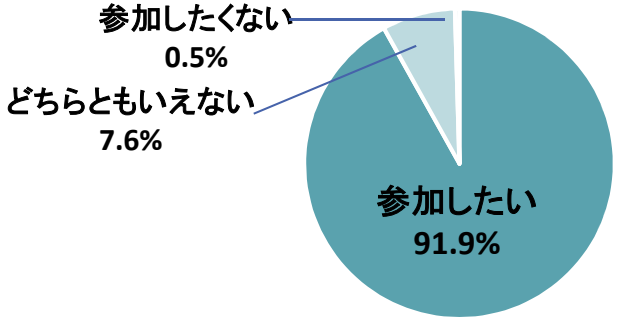
AMED2019



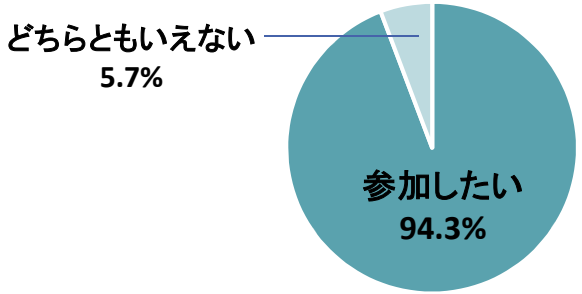
◆次回イベントについての参加希望

次回の参加について、90%以上が「参加したい」と回答。

AMED2017



AMED2019



Ⅰ(1)AMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等
⑤研究開発の基盤整備に対する支援

令和元年度評価
期間実績評価

評価軸 AMEDの研究開発の成果の利活用に向けたデータベース化を推進したか。

■ AMSに登録している全てのAMED研究開発課題に対して、予め研究開発課題に多面的(例えば疾病名や研究開発フェーズ)なタグ付け(ラベル貼り)を行い、また、 PubMed型の用語辞書によるキーワードや分類コードを全課題に付与し、索引付けを行い、分析手法の高度化に取り組み、折々の多様な分析ニーズの各観点からの検索や分析になるべく応えられるよう改善した。また、検索、分析結果を単に数値表化するのみならず、結果を図表上にマッピングして可視化するような俯瞰的な機能を用いて傾向を視覚的、直感的に掴み取ることが有効とされている。このような視点から、AMSに収録された各種タグやキーワード等で検索した結果を図表上にマッピングする機能(AMSfocus)を5月にリリースした。

評価軸 革新的医療技術創出拠点の強化・体制整備やエビデンスに基づいた予防医療・サービス手法を開発するためのバイオバンク等の強化及びモデル動物等のバイオリソースの整備等を行ったか。

■ 平成25年度から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:67,334件)。既に平成29年度中に18.2万人分、約90万箇所のSNP情報をNBDCへ公開済みで、平成30年度中には、全ゲノムシークエンス1,000名分及び乳がん関連遺伝子シークエンス30,000人分についても公開した。さらに理化学研究所にて解析済みの心筋梗塞1,800名、認知症200名の全ゲノムデータも順次公開する。30年度より、ゲノム研究バイオバンク事業として、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、令和元年度は従来の実績を大きく上回る配布を行った。(DNA14,146件、血清1,274件、臨床情報・ゲノム情報363,633件、検索システム利用833件)。また、実験動物(マーモセット等)の育成・提供やiPS細胞バンクなど研究開発の基盤となる事業・課題を研究開発課題と一体的に推進し、基盤整備型事業を推進した。これらにより、橋渡し研究戦略的推進プログラム及び臨床研究中核病院関連事業(医療技術実用化総合促進事業(国際共同臨床研究実施推進事業、臨床研究品質確保体制整備事業、未承認医薬品等臨床研究安全性確保支援事業)、早期探索的・国際水準臨床研究経費)により、革新的医療技術創出拠点の強化・体制整備を行い、昨年を上回る医師主導治験が実施された。

＜モニタリング指標＞

	H27年度	H28年度	H29年度	H30年度	R1年度
医師主導治験数	31件	24件	33件	36件	21件
FIH試験数(企業治験も含む)	16件	24件	26件	22件	30件

Ⅰ(1)AMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等
⑤研究開発の基盤整備に対する支援

令和元年度評価
期間実績評価

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

■「体液中マイクロRNA測定技術基盤開発」では、当初予定していた13種のがん（肺がん、食道がん、肝臓がん、胃がん、膵臓がん、大腸がん、前立腺がん、乳がん、胆道がん、脳腫瘍、骨軟部腫瘍、卵巣がん、膀胱がん）に2種の希少がん（眼腫瘍、子宮肉腫）を加え、53,000検体以上の血清を網羅的に解析、診断性能の高い解析アルゴリズムを開発した。
■上記の取組により、非侵襲、低侵襲で、正確かつ低コストで測定できる診断技術の開発を推進した。

評価軸 革新的医療技術創出拠点の強化・体制整備やエビデンスに基づいた予防医療・サービス手法を開発するためのバイオバンク等の強化及びモデル動物等のバイオリソースの整備等を行ったか。

■患者のバイオバンクの構築（オーダーメイド医療の実現プログラム）
- 平成25年度から平成29年度末までに、12医療機関の協力を得て、38疾患について患者よりDNA及び臨床情報を収集した。（第2コホート）（H25からの累計同意取得数：68,516件、DNA採取数：67, 334件）理化学研究所にて解析済みの心筋梗塞1,800名、認知症200名の全ゲノムデータも順次公開した。
- 平成29年度中に18.2万人分、約90万箇所のSNP情報をNBDCへ公開済みで、平成30年度中には、全ゲノムシークエンス1,000名分及び乳がん関連遺伝子シークエンス30,000人分についても公開した。30年度より、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に務め、令和元年度は従来の実績を大きく上回る配布を行った・（DNA14,146件、血清1,274件、臨床情報・ゲノム情報363,633件、検索システム利用833件）。

■健常者のバイオバンクの構築（東北メディカル・メガバンク計画）
- 平成28 年度末までに、当初からの目標であった15万人規模の研究参加者のリクルートを計画通りに完了。平成29年からは、追跡・詳細二次調査を開始し、令和元年度末までに、宮城県で約6万人、岩手県で約2万人の二次調査を完了。
- 日本人基準ゲノムJG-1の公開、全ゲノムリファレンスパネルの拡張(4.7KJPN)、日本人多層オミックス参照パネルのメタボローム解析情報を15,000検体まで拡張し、jMorpで公開。

■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）
- 公募採択した25種のモデル生物からなるバイオリソースの寄託収集・保存・提供を平成29年度から第4期として継続実施しており、毎年6,000人以上の基礎医学・生命科学研究者に利用されている。その結果、これらリソースを利用した論文数は年2000報以上である。

＜モニタリング指標＞
・バイオバンクの試料数：2,836,959件
・バイオリソース数：バイオリ　ソースの中核的拠点数：25件
（試料数：6,553,911件）

Ⅰ(1)機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等
⑥国際戦略の推進

令和元年度評価

評定(自己評価)	
B	①臨床データ交換標準(CDISC)とのパートナー契約、COVID-19の論文投稿前データの共有声明に署名したことに加え、AMEDオンライン課題評価システム(ARS)に英語での使用が可能とするなど、評価システムの改善が行われた。②MOCに署名した英国、星国FA等と3分野、3件の国際共同研究を開始した。③低・中所得国と我が国の知見や経験を基盤に共同研究を着実に推進し、科学技術外交及び保健外交に貢献した。④ Interstellar Initiative、SICORP、日米医学協力計画の各事業において、国際的に活躍が期待される若手研究者の育成を図る公募を推進した。以上より、適正、効果的かつ効率的な業務運営の下で、「研究開発成果の最大化」に向けて成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められる。

①国際的な研究ネットワーク及び研究環境の基盤の構築

①-1 国際連携ネットワークの構築

- 全米医学アカデミー(NAM)のHealthy Longevity Global Grand Challenge 事業に参画。Interstellar Initiative等の事業を通じてカタリスト・アワードへの登録課題を選定。
- Clinical Data Interchange Standards Consortium (CDISC)とPartnership Agreement に署名した。これにより、AMED採択課題の研究者も会員限定WEBサービス等が受けられるようになり、実用化研究が推進した。
- 北欧諸国の5カ国と、「ライフステージに応じた健康課題の克服に向けたビックデータの活用」ワークショップを開催し、AMEDが推進するライフコースアプローチ研究での協力の準備を進めた。また、EUと実験動物代替モデルをテーマとしたラウンドテーブルを開催した。加えて、インド科学技術部(DST)及びインド医療評議会(ICMR)とのMOC署名を見据えたワークショップを開催し、国際共同研究に向け連携体制構築を進めた。
- ロンドン事務所、英国AMS及びJSPSと共同で健康データの活用をテーマとしたシンポジウムを開催した。共同研究へ向けた環境の基盤構築を進めた。

①-2 国際的な研究環境の基盤構築

- COVID19の流行に対処するため、令和2年1月31日、COVID19に関連する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、令和2年2月にWHOとGloPID-Rの共催によるCOVID-19研究開発フォーラムにて、緊急対応について、議論した。これにより、未発表データを論文投稿前に共有することが可能となった。
- 国際水準での評価等を目指し、英語を用いた申請・評価のシステム構築に段階的に着手した。また、安全保障輸出管理体制を構築し、機構役職員への研修やガイドブックの作成を行った。さらに、AMEDオンライン課題評価システム(ARS)の英語での使用を可能とし、評価システムの改善を行った。

②国際共同研究等の推進

②-1 SICORP等を活用した我が国にとって真に価値のある研究分野・課題の推進

- 新たにシンガポールとは細胞治療分野、英国とは感染症分野の国際共同研究を開始した。また、シンガポールとの共同研究では、「AMED 遺伝子・細胞治療シンポジウム」をA*STARと連携のもと開催した。
- MRCと共同で再生医療実現拠点ネットワークプログラムにおいて、幹細胞・再生医学分野の発展および次世代の再生医療の革新的な医療の実現や幹細胞を用いた創薬応用に資する共同研究の公募行った。

②-2 国際協力体制の推進

- 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。HFSPを支援する各国のファンディング・エージェンシー、HFSP採択者や国内の高校生を招待し、ノーベル賞受賞者4名による講演が行われ国際連携推進に寄与した。

③科学技術外交・保健外交上の貢献

③-1 国連の持続可能な開発目標(SDGs: Sustainable Development Goals)への貢献

- NTDs事業が中心となって、令和元年7月に「TICAD7Pre-Event, ICREP-NTDs 国際シンポジウム」を開催した。
- e-ASIA、SATREPS等の研究成果の共有等を通じ、共同研究相手国のみならず参加国へ貢献した。

③-2 地球規模の保健課題への対応

- 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、我が国の知見や経験を基盤に各国との共同研究を着実に推進した。ガーナにおける国境検疫(水際対策)に関する研究課題では、ガーナの国家感染症対策に貢献した。
- 第22回毎年汎太平洋新興・再興感染症国際会議(EID国際会議)では、COVID-19 に関する緊急のセッションを設定し、参加国のCOVID-19状況を共有するとともに、今後、重要となる研究等の議論を深めた。

④国際的に活用が期待される若手研究者の育成

④-1 若手研究者を対象とした国際公募の実施

- Interstellar Initiativeでは、健康長寿分野において国際公募を実施し、世界中から優秀な若手独立研究者(PI)31名を採択した。
- SICORPでは、細胞治療分野(シンガポール)及び感染症(英国)にて、若手研究者を対象にして共同研究公募を行った。
- 第4回目の「日米医学協力計画の若手・女性育成のための共同研究公募」を感染症分野にて、米国NIAIDと共に実施した。国際共同研究9課題を推進した。

Ⅰ(1)機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等
⑥国際戦略の推進

期間実績評価

評定（自己評価）	
A	①米欧アジアの三極に海外事務所を設置し、FA6機関及び医学・科学アカデミー1機関と覚書締結等により連携した。また、重要な国際研究アライアンスに11件加入した。さらに、国際レビューアを導入し国際的な研究ネットワーク及び研究環境基盤の構築を行った。②これらのネットワーク及び基盤をもとにグローバルなデータシェアリング、難病・未診断疾患、感染症、再生医療、Healthy Longevityなどの重要な研究分野について国際共同研究を推進し、未診断疾患患者の診断に役立つ情報を臨床に還元したほか、低コスト診断薬の開発などに貢献した。③顧みられない熱帯病の研究事業の創設等によりアフリカ、ASEAN等の、低所得・中所得国との共同研究を推進し、その成果の社会実装に努めるなど科学技術外交・保健外交に貢献した。④今後重要となる研究領域を対象に、人材育成にも資するInterstellar Initiative事業を創設した。また、SICORP、日米医学協力事業で若手研究者枠を設けるなど国際的に活用が期待される若手研究者の育成を強化した。以上より、適正、効果的かつ効率的な業務運営の下で、「研究開発成果の最大化」に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。

	H27	H28	H29	H30	R1	見込	期間
自己評価	A	S	A	A	B	A	A
主務大臣評価	A	S	A	A		A	

①国際的な研究ネットワーク及び研究環境の基盤の構築

①-1　海外事務所を活用した国際連携ネットワークの構築
- 米国、英国、シンガポールに設置した3つの海外事務所を活用し、主要国の研究資金配分機関や科学アカデミー各事業等と連携を深め、国際的な活動を拡大した。尚、シンガポール事務所については、令和2年3月末で、一旦、閉鎖し、海外事務所のあり方を総合的に検討した上で、第二期において必要な措置を講じる予定。

①-2　研究協力に関する覚書（MOC）を7件署名
- 米国、英国に加え、特定分野で高い研究ポテンシャルを持つシンガポール、リトアニア、オーストラリア、スペインのFA及び全米科学アカデミーと覚書を取り交わした。

①-3　国際研究アライアンスに11件加入
- 主要研究支援機関間の情報共有、難病、感染症などの研究開発に関わる重要な国際研究アライアンスに加入し、積極的な活動を展開した。また、HIROs会議への参加により、海外FA間のネットワークが強化された。

①-4　AMED課題評価の国際化
- AMEDにおける評価の質の一層の向上を図るため、国際レビューアを導入し、英語を用いた申請及び評価のシステムへの転換を開始した。

②国際共同研究等の推進

②-1　SICORP等を活用した我が国にとって真に価値のある研究分野・課題の推進
- シンガポール、英国等11カ国と各国の強みを活用し、51件の国際共同研究を実施した。

②-2　新たな枠組みによる国際共同研究の推進
- グローバルなデータシェアリングや、難病・未診断疾患、感染症などの重要な研究分野について、国際的研究ネットワーク及び研究環境を元に国際共同研究を推進した結果、2件の未診断疾患患者の確定診断、低コスト診断薬の開発などの成果を得た。
- 再生医療実現拠点ネットワークプログラムにおいて、MRCと共同で公募を行った。
- 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した。

③科学技術外交・保健外交上の貢献

③-1　e-ASIA、SATREPS、日米医学共同事業等の成果を通じた科学技術外交
- ASEAN及び環太平洋諸国の研究資金配分機関と共催でアジア・環太平洋ワークショップを開催。感染症、がんの研究情報等の共有とe-ASIA事業、日米医学共同事業等を活用した共同研究プロジェクトによる問題解決を促進。また、EID国際会議では、COVID19 に関する包括的な研究の視点を参加者に示すことができた。

③-2　顧みられない熱帯病（NTDs）の研究事業の創設等
- NTDsを対象にアフリカでの研究を推進しつつ、TICA会議等の機会を利用して5年間で7回のシンポジウム等を開催し成果を共有した。

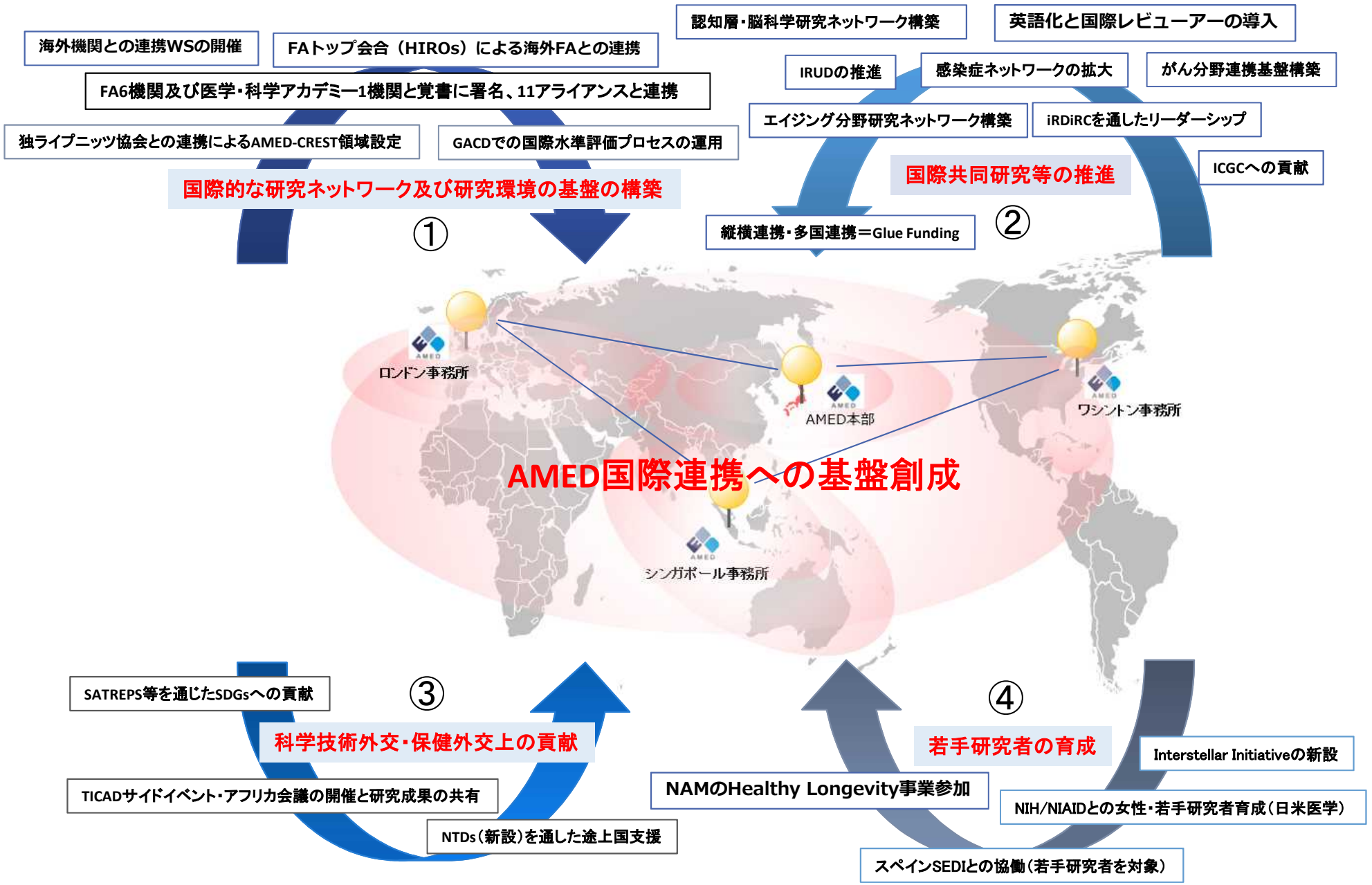
④国際的に活用が期待される若手研究者の育成

④-1　Interstellar initiative 事業を創設し革新的シーズ創出を促進
- 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。平成29年度の試行開催も含めてこれまで110名を超える各国の若手研究者（41チーム）が参加し、本格研究に向けてHFSP、NAMなどの革新的なファンドに応募中。

④-2　地球規模の保健課題での若手・女性研究者の育成に向けた取組
- 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実施した。

④-3 既存プログラムでの若手研究者を対象とした公募を実施
- SICORPでは、細胞治療分野（シンガポール）及び感染症（英国）にて、令和元年度公募において若手研究者を対象にして共同研究公募を行った。

Ⅰ(1)機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等
⑥国際戦略の推進



Ⅰ(1)機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等
⑥国際戦略の推進

令和元年度評価　①国際的な研究ネットワーク及び研究環境の基盤の構築

①-1　国際連携ネットワークの構築

14件の国際ワークショップ・ラウンドテーブル開催による研究ネットワークの構築

- 統合プロジェクトのPS等の専門家が、国際的な研究ネットワークを用いて研究対象分野等に関して議論する機会を設け、共同研究の推進・調整や情報収集・分析・発信を可能にする活動をさらに進めるためのワークショップ等を5件開催した。また、事業課主体・プログラム主体のワークショップ等を9件開催した。

北欧（NordForsk）
（令和元年6月10日-11日）
- ライフコース（ワークショップ）



リトアニア（保健省）
（令和元年9月23日-24日）
- 難病・がん（ワークショップ）



インド（DST・ICMR）
（令和元年11月27日）
- 感染症（ワークショップ）



英国（AMR）
（令和2年2月26日）
- エイジング（シンポジウム）



Clinical Data Interchange Standards Consortium (CDISC)とPartnership Agreementに 署名

- CDISCとPartnership Agreementに 署名。AMED採択課題の研究者も会員限定のWEBサービスが受けられるなど、AMED職員同様の特典を得ることができるようになり、実用化研究を推進した。

①-2　国際的な研究環境の基盤構築

新型コロナウイルス（COVID-19）に対する対応

- 新型コロナウイルス（COVID-19）の流行に対処するため、令和2年1月31日、COVID-19に関連する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。これにより、論文投稿前に研究データや結果を共有することが可能となった。

国際レビューアの導入・安全保障輸出管理／ガイドブックの作成

- 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を拡大した。英語を用いた申請・評価のシステム構築に段階的に着手し、平成31年度公募において13事業に導入した。また、AMEDオンライン課題評価システム（ARS）に英語での使用が可能となり、評価システムの改善が行われた。
- デュアルユース技術等の不拡散のための安全保障輸出管理体制を構築し、機構役職員への周知徹底を行った。



申請書・報告書

リスト規制(政省令で定め)
武器・大量破壊兵器関連・通常兵器関連等、輸出を規制される貨物・技術
武器、機微な汎用品（原子力・生物・化学兵器・ミサイル関連品目・先端材料・工作機械等）

キャッチオール規制
木材、食料品等を除く全貨物・技術が、大量破壊兵器等に使われることを①知っている、②政府から通知を受けた場合の規制
大量破壊兵器、通常兵器（リスト規制品目以外の全品目：食品、木材等を除く）

規制に該当しない

Ⅰ(1)機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等
⑥国際戦略の推進

令和元年度評価　②国際共同研究等の推進

②-1　我が国にとって真に価値のある研究分野・課題の推進

SICORP等を活用した我が国にとって真に価値のある研究分野・課題の推進

- 令和元年度にシンガポールと細胞治療分野に関する共同研究を開始した。また、令和2年2月には「AMED Gene&Cell Theropy（遺伝子・細胞治療）シンポジウム」をA*STARと連携して開催した。今後の研究内容について深い議論が行われた。

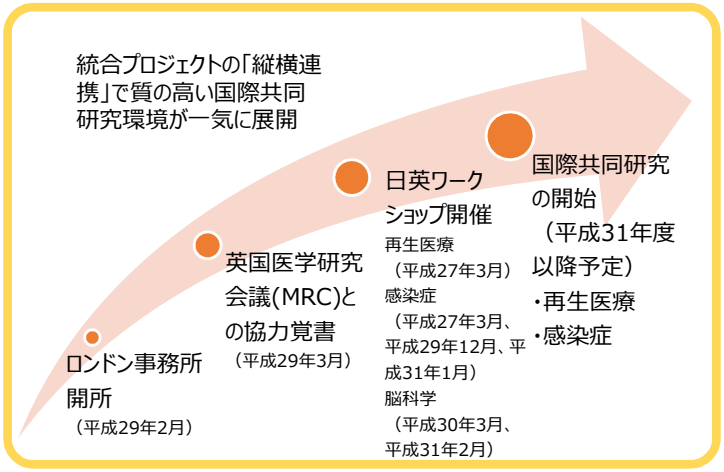




日英国際共同研究の展開を推進

- 英国医学研究会議（MRC）及びAMED戦略推進部と連携し、感染症分野、再生医療分野における日英共同研究の展開を推進している。

  - 英国と感染症分野に関する共同研究を開始した。これは、MRCとのMOC署名、日英ワークショップ開催などロンドン事務所と共に国際共同推進の展開を推進してきた成果である。
  - ロンドン事務所、英国AMS及びJSPSと共同でエイジングをテーマにシンポジウムを開催した。高齢化の進む日本の施策や研究への関心が高く、問題意識を共有し、共同研究へ向けた意見交換が行われた。



②-2　国際協力体制の整備

全米医学アカデミーと協調し、HLGCを開始

- 平成31年2月にMOC署名した全米医学アカデミー（National Academy of Medicine）NAMが提唱する「Healthy Longevity Grand Challenge（HLGC）」に参画する7ヶ国8機関と協調し、HLGCを開始した。また、令和元年6月には、健康長寿（Healthy Longevity）をテーマとした講演会を行い、連携を強化した。



ヒューマン・フロンティア・サイエンス・プログラム（HFSP）30周年記念講演会開催

- HFSPの30周年を記念しHFSP機構、文科省・経産省・AMEDの共催により式典と記念講演会を東京で行った。各国のFA、HFSP採択者や国内の高校生を招待し、ノーベル賞受賞者4名による講演が行われ国際連携推進に寄与した。同様に、在米日本大使公邸でも大使列席のもと、30周年記念式典が行われ、参加した。



アメリカ国立アレルギー感染症研究所（NIAID）／アメリカ国立衛生研究所（NIH）と共同出展

- ワシントン事務所においては、NIAID／NIHと共同で、「全米さくらまつりストリートフェスティバル」にて「日米医学協力計画」を始めとした日米の医学分野における研究協力の歴史やその成果等の展示を行い、これまで培った成果を連携して周知した。



Ⅰ(1)機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等
⑥国際戦略の推進

令和元年度評価 ③科学技術外交・保健外交上の貢献

③-1 国連の持続可能な開発目標（SDGs: Sustainable Development Goals）への貢献

SATREPS等の成果を通じた共同研究相手国への貢献

- 「地球規模課題対応国際科学技術協力プログラム（SATREPS）」では、政府開発援助（ODA）を行うJICAとの連携により、アジア・アフリカ等の開発途上国との感染症に関する国際共同研究12課題を13か国で推進。また、「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」では、アフリカ地域8か国で4課題を推進。それぞれ、政府のSDGs実施指針に則し、その具体的施策として国連のSDGs達成へ貢献した。

【事例】インクジェットプリンターを用いたハンセン病、並びにヒトアフリカトリパノソーマ症遺伝子診断用乾燥型LAMPキットおよびハンセン病血清診断イムのクロマトグラフィーキットの開発を行った。これらの診断キットは安価かつ既存のキットよりも高い精度および感度で結果が得られている。上記診断法を現地ザンビアに実装し、地域住民のみならず野生動物、家畜、媒介昆虫を対象としてハンセン病、並びにヒトアフリカトリパノソーマ症の実態調査を進めた結果、ザンビア保健省の報告を上回る高さで有病率がある可能性を示した。

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
「迅速診断法の開発とリスク分析に基づいた顧みられない熱帯病対策モデルの創成」
（北海道大学人獣共通感染症リサーチセンタ　鈴木 定彦　センター長・教授）



アクティブサーベイランスを実施した地域

「第７回アフリカ開発会議（TICAD7）」のプレイベントを開催

- 研究開発課題において、「第7回アフリカ開発会議（TICAD7）」のプレイベントとして、「TICAD7 Pre-Event, ICREP-NTDs 国際シンポジウム」を開催（令和元年7月）した。日・アフリカ間の感染症分野研究を推進した。



③-2 地球規模の保健課題への貢献

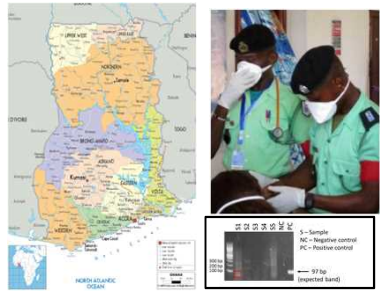
我が国の知見や経験を基盤に共同研究相手国への貢献

- 地球規模の保健課題についての現状及び我が国の保健外交政策に則り、WHO等の国際機関と適宜連携しながら我が国の知見や経験を基盤に各国の状況に沿った対策を作成・提案し、新規含め4件の研究を着実に実施した。

【事例】ガーナにおける国境検疫に関する研究課題では、調整費を活用し、ベクターサーベイランス・出入国者サーベイランスの量質的な拡充を図り、ガーナの国家感染症対策に貢献した。

地球規模保健問題解決推進のための研究事業
「ガーナ国の入国地点における中核的能力整備のための研究」
（研究代表者　国立病院機構三重病院　臨床研究部長　谷口清州）

西アフリカで初のリフトバレー熱ウィルス検出



「汎太平洋新興・再興感染症国際会議（EID国際会議）」を開催

- NIAIDと共同で第22回汎太平洋新興・再興感染症国際会議（EID国際会議）をタイにて開催し、「ウイルス」をテーマにした研究成果が共有された。特に、COVID-19に関しては、緊急のセッションを設定し、各国のCOVID-19の感染動向や、今後、重要となる研究内容等を参加者と共有できた。



Ⅰ(1)機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等
⑥国際戦略の推進

令和元年度評価　④国際的に活用が期待される若手研究者の育成

④-1　若手研究者を対象とした国際公募の実施

Interstellar Initiativeを実施し、若手研究者による国際的かつ学際的共同研究を推進

- 世界中から若手研究者を公募し、日本人をリーダーとする国際的・学際的チームを構成。各チームはメンターの指導のもと、医療分野の難課題解決に向けた研究計画を立案し、国際グラントの獲得を経て国際共同研究を実施。平成元年度は事業を通じて、全米科学アカデミー（NAM）のHealthy Longevity Global Grand Challenge事業への登録課題を選定した。
- 11組の国際的かつ学際的チームを形成し、国内外の著名な研究者をメンターに実施した国際ワークショップ（9月、2月）や予備的研究を通じて、医療分野の新規シーズの創出（研究計画の立案）を推進
- これらの若手研究者チームは、今後、完成した研究計画で国際的な研究グラント（HFSP、全米医学アカデミーのHealthy Longevity Global Grand Challenge 等）に応募し、国際共同研究につなげていくことが期待される。


写真：ワークショップ参加者集合

第一回ワークショップ：研究計画立案

→ メンターの指導・助言/更なる計画の練り上げ/予備検証実験等のフィージビリティ研究の実施

第二回ワークショップ：研究計画完成

→ 国際的な研究資金への応募・獲得/国際共同研究の実施/新規分野等創出、国際共著論文増等の成果

◆平成元年度公募実績

応募数	書類審査数	採択数	採択率
94	64	30	46．9%

◆平成元年度に採択された31名の国別内訳

日本	米国	シンガポール	カナダ	イスラエル	イタリア	ナイジェリア	ポルトガル
10	11	3	2	2	1	1	1

これまでの成果

- 平成29年試行時の参加20チーム中9チームが国際グラントへ応募。
- 応募した国際グラントはHFSP含め12事業。
- また、Interstellar Initiativeの共同研究者との共著論文を執筆中の参加者あり。

◆国際グラント応募状況（*2019年8月時点）

開催年度	H29年度（試行開催）	H30年度	H31/R1年度
グラント応募件数	１２件*	８件*	準備中**

**9チームがNAM（全米医学アカデミー）のHealthy Longevity Grand Challenge Catalyst Award登録へ向け準備中。

米国と若手・女性公募を実施

- 第4回目の「日米医学協力計画の若手・女性育成のための共同研究公募」を感染症分野にて、米国NIAIDと共に実施した。国際共同研究9課題を推進した。

United States-Japan Cooperative Medical Science Program

Ⅰ(1)機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等
⑥国際戦略の推進(国際的な研究ネットワーク及び研究環境の基盤の構築)

期間実績評価

①国際的な研究ネットワーク及び研究環境の基盤の構築

●協力に関する覚書MoC署名国
●H27-R1年度国際共同研究事業実施国
■感染症 ■未診断疾患、■エイジング

①-1 海外事務所を活用した国際連携ネットワークの構築

米・欧・アジア三極に事務所を設置、主要国FA6機関・アカデミア1機関と連携

欧州、中東、ロシア、アフリカ

ロンドン事務所

MRC(英国) 平成28年度MoC署名
■感染症(SICORP)
■再生医療(再生医療研究課)
■ライフコースWS(NordForsk)
■感染症WS(J-PRIDE)
■神経科学WS(脳プロ)
■レギュラトリーサイエンス(EC)
リトアニア保健省 平成28年度MoC署名
■難病・未診断疾患(IRUD)
■難病・がんWS(保健省)
■神経科学(SICP/ドイツDFG)
■免疫(ライプニッツ協会WS)
SEIDI(スペイン) 平成29年度MoC署名
■ナノメディシン
■感染症(SATREPS, アフリカNTDs)

北中南米地域

■幹細胞(SICORP/加CIHR)

ワシントンDC事務所

NIH(米国) 平成27年度MoC署名
■難病・未診断疾患(IRUD)(UDNI含む)
■感染症(日米医学協力計画)
■がん(日米医学協力計画)
■免疫(日米医学協力計画)
■栄養(日米医学協力計画)
NATIONAL ACADEMY OF MEDICINE 平成31年MoC署名 Healthy Aging
The New York Academy of Sciences
■若手育成WS(Interstellar Initiative)
■感染症(SATREPS)

①-2 研究協力に関する覚書(MOC)に署名

医療研究全分野に強い米英に加え、特定の分野で高い研究ポテンシャルを持つシンガポール、リトアニア、オーストラリア、スペインの研究資金配分機関及び全米科学アカデミーとMOCに署名

アジア・大洋州地域

■感染症WS(DST・ICMR)
■感染症(SATREPS, e-ASIA, 日米医学協力計画, J-GRID)
■がん(e-ASIA, 日米医学協力計画)
■免疫(日米医学協力計画)
■栄養(日米医学協力計画)
■メンタルヘルス(GACD)
■エイジング(地球規模保健)

シンガポール事務所

A*STAR(シンガポール) 平成27年度MoC署名
■エイジング(SICORP)
■細胞治療(SICORP)
豪NHMRC 平成30年9月MoC署名
■難病・未診断疾患(IRUD)

①-3 国際アライアンスへの参加

主要研究支援機関の長、難病、感染症など重要な国際研究アライアンスに加入し、積極的な活動を展開した。

IRDiRC jpiamr CDISC GACD Global Alliance for Genomics & Health GL PID-R IHEC HIROs ICRP Matchmaker Exchange translation together

Ⅰ(1)機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等
⑥国際戦略の推進

期間実績評価　②国際共同研究等の推進

②-1　SICORP等を活用した我が国にとって真に価値のある研究分野・課題の推進

医療分野国際科学技術共同研究開発推進事業のSICORPでは英国、シンガポール、スペインなど11カ国と各国の強みを活用した51件の国際共同研究を実施した。

英国　令和元年度評価②-1

- 平成29年1月にMoCに署名した英国医学研究会議（MRC）と、令和元年度に感染症分野で国際共同公募を実施。8件の国際共同研究を令和2年1月に開始した。
- また、医療分野では、「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」において共同研究の公募を行った。



シンガポール　令和元年度評価②-1

- 平成28年3月にMoCに署名したシンガポールA*STARとは、少子高齢社会が両国共通の社会問題であることから、エイジング分野で国際共同公募を実施。平成29年度にシンガポール事務所のサポートの下で、両国研究者による合同評価委員会を実施し、3件の国際共同研究を平成29年6月に開始した。また、令和元年度には細胞治療の分野で3件の国際共同研究を開始した。





スペイン

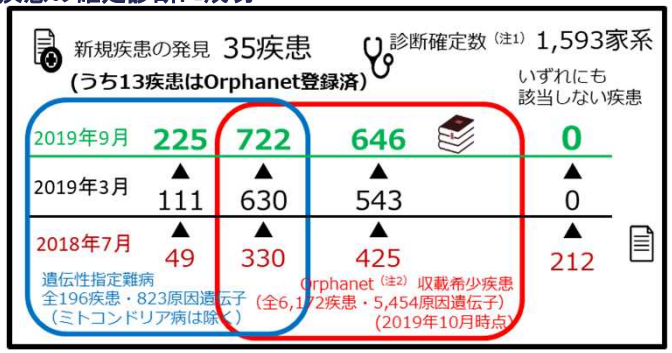
- 平成29年4月にMoCに署名したスペイン経済競争力省　研究開発イノベーション庁（SEIDI）と、ナノメディシン分野で若手研究者を対象とした国際共同公募を実施。
- 採択された3課題と、「ナノメディシン」、「難病分野」の若手研究者交流が参加するシンポジウムを日本スペイン外交関係樹立150周年事業として、平成30年11月にマドリッドで開催した。

②-2　新たな枠組みによる国際共同研究の推進

- グローバルなデータシェアリングや、難病・未診断疾患、感染症、再生医療、Healthy Agingなどの重要な研究分野について、国際的研究ネットワーク及び研究環境を元に国際共同研究を推進した結果、未診断疾患患者の確定診断、低コスト診断薬の開発などの成果を得た。

MOCに基づくデータシェアリングの推進

リトアニア保健省や米国NIH、スペインSEIDIとのMOCに基づく共同研究により、2件の未診断疾患の確定診断に成功



全米医学アカデミー（NAM）との連携

- 平成30年2月、全米医学アカデミー（NAM）とのMOCに署名した。また、NAMが提唱するHealthy Longevity Global Grand Challenge 事業に参画予定。令和2年2月、Interstellar Initiative等の事業を通じてカタリスト・アワードに課題を登録した。



国際アライアンスとの協調公募に参加

- 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。

Ⅰ(1)機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等
⑥国際戦略の推進

期間実績評価　③科学技術外交・保健外交上の貢献

③-1　e-ASIA、SATREPS、日米医学共同事業等の成果を通じた科学技術外交

- ASEAN及び環太平洋諸国の研究資金配分機関と共催でアジア・環太平洋ワークショップを開催。12ヵ国から計50名を超える感染症・がん研究者が参加し、研究情報等の共有とe-ASIA事業、日米医学共同事業等を活用した共同研究プロジェクトによる課題解決を促進。



- 医療分野国際科学技術共同研究開発推進事業では、平成27年度以降、36か国111課題で国際共同研究・国際交流を推進、
- 地球規模保健課題解決推進のための研究事業では20課題を推進、地球規模の保健課題についての現状及び我が国の保健外交政策に則り、研究開発上の成果に加え、
- 令和2年2月開催のEID国際会議では、COVID19に関しての緊急セッションを設定し、各国のCOVID19の感染動向や、今後、重要となる研究内容等を参加者と共有できた。

ケニアにおける黄熱病およびリフトバレー熱に対する迅速診断法の開発とそのアウトブレイク警戒システムの構築

【事例】リフトバレー熱（RVF）のIgM検出用イムノクロマト(POC)テストの生産技術をケニア中央研究所製造部門に技術移転が完了し現地生産を可能とした。携帯電話のSMS機能を用いたアウトブレイク情報の通信プログラム（mSOS）を開発し、有効性を実証。ケニア政府の疾病サーベイランス対策システムと統合



フィリピンでの重症肺炎治療薬の開発

【事例】ベトナムとフィリピンとの共同研究成果に基づき、1歳-15歳の重症肺炎小児患者を対象とした適応外使用探索的臨床試験をフィリピンFDAに申請し、日本主導によりフィリピンで実施した。



さらに10年以上にわたる研究開発活動がベトナム政府から高く評価され「Medal For People's Health」を受賞 。

ＷＨＯによる妊婦健診等に関する母子保健分野のガイドライン策定に貢献

【事例】診療記録を妊婦自身が保持することの効果、妊娠中の各栄養素やたんぱく質に関する栄養介入効果、妊娠中における重症感染症の予防・治療効果に関して、系統的レビューを行った。その成果が妊婦健診や妊娠中の重症感染症予防・治療に関するＷＨＯの母子保健ガイドラインに反映された。



③-2　顧みられない熱帯病（NTDs）の研究事業の創設等

- 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（ICREP-NTDs）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。NTDsを対象にアフリカでの研究を推進しつつ、TICAD会議等の機会を利用して5年間で7回のシンポジウム等を開催し成果を共有した。




H27 国際シンポジウム（ケニア）


H28 TICAD 6 プレイベント（東京）


H28 TICAD 6 サイドイベント（ケニア）


H28 TICAD 6 ポストイベント（ケニア）


H29 国際シンポジウム（ザンビア）


H30 国際シンポジウム（ガーナ）

新規事業を立ち上げ、アフリカでの感染症プロジェクトの推進と成果の共有（面での国際連携）

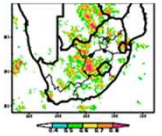




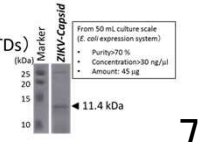












医薬品ワクチン
- Malaria Vaccine BK-SE36 (SATREPS→GHIT→CiCLE)
- MucoRice Vaccine(SATREPS→CiCLE)

媒介昆虫の制御
- Dengue（NTDs）

サーベイランス
- Surveillance System for Viral Diseases (SATREPS)
- Infectious Disease Transmission Models and Climate Prediction Models (SATREPS)
- International Health Regulation (IHR) (地球規模保健)

診断薬
- Tuberculosi（NTDs）
- Trypanosomiasis（NTDs）
- Yellow Fever（NTDs）
- Rift Valley Fever（NTDs）
- Ebora(SATREPS)
- Viral zoonoses(SATREPS)
- Human African trypanosomiasis（NTDs）
- Leprosy（NTDs）
- Buruli uncler（NTDs）
- Multi-diagnostics（NTDs）

Ⅰ(1)機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等
⑥国際戦略の推進

AMED

期間実績評価　④国際的に活用が期待される若手研究者の育成

④-1 Interstellar initiative 事業を創設し革新的シーズ創出を促進

- 世界中から若手研究者を公募し、日本人をリーダーとする国際的・学際的チームを構成。各チームはメンターの指導のもと、医療分野の難課題解決に向けた研究計画を立案し、国際グラントの獲得を経て国際共同研究を実施。これにより、日本の医療分野国際研究力の強化に加え、医療ニーズに応える革新的新規シーズの創出等を通して世界に貢献。平成元年度は事業を通じて、全米科学アカデミー（NAM）のHealthy Longevity Global Grand Challenge事業への登録課題を選定した。
- これまでの開催（試行開催を含む）で41チームが組まれ、各チームは立案した研究計画をHuman Frontier Science Programや全米医学アカデミー（NAM）のHealthy Longevity Global Grand Challenge 等をはじめとする挑戦的な研究グラントへ応募。
- Interstellar Initiativeの開催にあたり、若手研究者の周知やメンターの紹介のため、米NIHやNSF、英MRC、星A*STAR、豪NHMRC、独DFGなど、カウンターパートである海外FAと連携。

令和元年度評価④-1

◆平成30年度公募実績

応募数	書類審査数	採択数	採択率
98	68	30	44．1%

◆平成30年度に採択された30名の国別内訳

日本	米国	ドイツ	シンガポール	英国	カナダ
12	4	4	4	3	3

◆令和元年度公募実績

応募数	書類審査数	採択数	採択率
94	64	30	46．9%

◆令和元年度に採択された31名の国別内訳

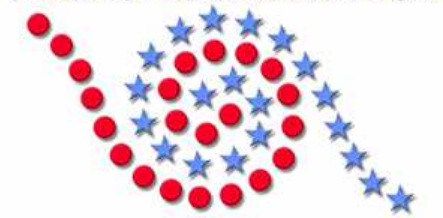
日本	米国	シンガポール	カナダ	イスラエル	イタリア	ナイジェリア	ポルトガル
10	11	3	2	2	1	1	1

④-2 地球規模の保健課題への対応や若手・女性研究者の育成に向けた取組

米国NIAIDと4回の若手・女性公募を実施

- 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た。これまで米国NIAIDと4回の公募を実施、22件を採択し、若手・女性研究者の育成に貢献した。

United States-Japan Cooperative Medical Science Program



④-3 既存プログラムでの若手研究者を対象とした公募を実施

若手研究者を対象とした海外FA等との共同公募

- SICORPでは、細胞治療分野（シンガポール）でのA*STARとの共同公募、感染症（英国）でのMRCとの共同公募において、若手研究者を対象にして共同研究公募を行い、若手研究者の発掘を推進した。

SINGAPORE Agency for Science, Technology and Research

MRC Medical Research Council

Ⅰ(1)機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等
⑥国際戦略の推進

評価軸 我が国にとって真に価値のある国際共同研究を推進したか。

令和元年度評価

国際的研究ネットワーク及び国際的な研究環境を構築し、若手研究者等の国際共同研究を加速

- 新たに5件のMOC署名に向けたワークショップ（4件）・ラウンドテーブル（1件）を開催した（①-1）。また、事業課主体・プログラム主体のワークショップを10件開催した。
- 「医療分野国際科学技術共同研究開発推進事業」において、シンガポールA*STARと細胞治療分野で3件、英国MRCと感染症分野で8件の共同研究を開始した（②-1）。これらの公募において、若手研究者を対象にして共同研究公募を行い、若手研究者の発掘を推進した（④-3）。
- さらに同事業Interstellar Initiativeにおいて、健康長寿を主要分野に国際公募を実施し、世界中から優秀な若手独立研究者（PI）31名を採択。医療分野の新規シーズの創出（研究計画の立案）を推進した。また、NAMのHealthy Longevity Global Grand Challenge事業への登録課題を選定した。（④-1）。
- 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。（④-2）。
- ヒューマン・フロンティア・サイエンス・プログラム（HFSP）では、30周年を記念しHFSP機構、文科省・経産省・AMEDの共催により式典と記念講演会を東京で行った。各国のFA、HFSP採択者や国内の高校生を招待し、ノーベル賞受賞者4名による講演が行われ、国際連携推進に寄与した。また、在米日本大使公邸でもNIH、NSF両長官、末松理事長、米国大使ほかの出席のもと、30周年記念式典が行われ、参加した（②-2）。

モニタリング指標	H27年度	H28年度	H29年度	H30年度	R1年度
相手国への派遣研究者数*	515件	514件	451件	340件	264件
相手国からの受入研究者数*	148件	165件	201件	190件	232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	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	14件

*Interstellar Initiativeで実施したWS参加者を含む

- 新型コロナウイルス（COVID-19）の流行に対処するため、令和2年1月31日、COVID-19に関連する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。これにより、感染症の流行に対処するために研究データや結果を共有することが可能となった。

期間実績評価

国際レビューアの導入や連携相手国機関との協力を通じて、質の高い評価及び国際共同研究を推進

- SICORP等を活用した我が国にとって真に価値のある研究分野・課題の推進。シンガポール、スペイン、英国など11カ国と各国の強みを活用した51件の国際共同研究を着実に実施した（②-1）。
- 主要研究支援機関間の情報共有、難病、感染症などの研究開発に関わる重要な国際研究アライアンス11件に加入し、積極的な活動を展開した（②-2）。
- グローバルなデータシェアリングや、難病・未診断疾患、感染症、再生医療、Healthy Agingなどの重要な研究分野について、国際的研究ネットワーク及び研究環境を元に国際共同研究を推進した結果、未診断疾患患者の確定診断、低コスト診断薬の開発などの成果を得た。
- 慢性疾患国際アライアンス（GACD）の国際協調公募では、実装研究に関するワークショップを開催した（②-2）。
- 平成30年度には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 。また、ニューヨーク科学アカデミー（NYAS）と連携し、国内外のノーベル賞級の研究者をメンターとする若手育成国際ワークショップを開催するなどの取組を行い、質の高い国際共同研究を推進した（④-1）。
- 国際水準での評価等を目指し、平成31年度公募において13事業に導入し、公募・評価プロセスにおける国際レビューアの導入を拡大した。また、AMEDオンライン課題評価システム（ARS）に英語での使用が可能となり、評価システムの改善が行われた。（①-2）。

Ⅰ(1)機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等
⑥国際戦略の推進

評価軸 我が国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。

令和元年度評価

科学技術外交・保健外交上の貢献

- 「地球規模課題対応国際科学技術協力プログラム（SATREPS）」では、政府開発援助（ODA）との連携によりアジア等の開発途上国と感染症分野等の地球規模課題の解決につながる医療分野の国際共同研究を実施。継続課題9件の共同研究を着実に推進するとともに、新規課題2件について研究開発を開始した（③-1 ）。
- 東アジア諸国との共同研究については、同事業「e-ASIA共同研究プログラム」において、アジア・大洋州等の15 か国による国際共同研究プログラムに参画して感染症領域（6件）及びがん領域（2件）の国際共同研究を着実に推進するとともに、感染症領域の新規課題3件を採択し、研究開発を開始した（③-1 ）。
- 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、我が国の知見や経験を基盤に各国との共同研究を着実に推進した。ガーナにおける国境検疫（水際対策）に関する研究課題では、ガーナの国家感染症対策に貢献した（③-2）。
- 省庁間合意に基づく欧米等先進諸国との国際共同研究等については、戦略的国際共同研究プログラム（SICORP）において、国が戦略的に重要なものとして設定した相手国との国際共同研究を着実に推進した。具体的には、シンガポールとはエイジング分野、スペインとはナノメディシン分野の共同研究を引き続き推進するとともに、シンガポールA*STARと細胞治療分野で3件、英国MRCと感染症分野で8件の共同研究を開始した（②-1）。

期間実績評価

科学技術外交・保健外交上の貢献

- 医療分野国際科学技術共同研究開発推進事業では、36か国111課題で国際共同研究・国際交流を推進し、研究開発上の成果に加え、相手国への研究成果の実装や現地での臨床試験の開始、相手国政府からの表彰など計画を上回る顕著な成果が得られた。（③-1）。
- 首脳宣言に基づいた取り組みとして、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（ICREP-NTDs)を平成27 年度第1回調整費を活用して新たに立ち上げ、NTDs制圧に向けた研究開発の推進及び国際貢献により、医療分野研究の我が国の国際プレゼンスを向上し、科学技術外交を強化した（③-2）。
- 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では22件の課題を着実に実施した（③-1）。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（②-2）。
- 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（④-2）。

Ⅰ(1)機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等
⑥国際戦略の推進

評価軸　グローバルなデータシェアリングへの戦略的な対応を行っているか。

令和元年度評価

リトアニア保健省とのワークショップ開催

- 平成28年度にMOCに署名したリトアニア保健省と共同でナノテク、ゲノム編集をテーマとしたワークショップを開催した。リトアニアはシンガポールと並び、電子カルテを活用した国家的な臨床治療・研究が実施可能な数少ない国であり、難病・未診断疾患、がん分野を中心とするデータシェアリングをベースにした国際連携を見据え、ゲノム編集技術開発までを網羅する、両国に有益な研究課題を明らかにした(①-2)。

期間実績評価

7つのMOC・11の国際アライアンスを通じたデータシェアリングを推進

写真提供※1：米国国務省、※2：共同通信社

- 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、7つのMOCに署名(①-2)、11の国際的アライアンスに加盟した(①-3)。
  - 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、リトアニア保健省や米国NIH、スペインSEIDIとのMoCに基づく共同研究やUDNI(Undiagnosed Diseases Network International)との研究上の国際協力により2件の未診断疾患の確定診断に成功した。
  - 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。
  - 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。
  - 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。

7件のMOCに署名



NATIONAL ACADEMY OF MEDICINE　全米医学アカデミー (NAM) 2019年2月

11の国際コンソーシアム加盟

IRDiRC / Global Alliance for Genomics & Health / IHEC / Matchmaker Exchange / CDISC / GACD / HIROs / translation together / jpiamr / GLOPID-R / ICRP International Cancer Research Partnership

Ⅰ(1)機構に求められる機能を発揮するための体制の構築等
⑥国際戦略の推進

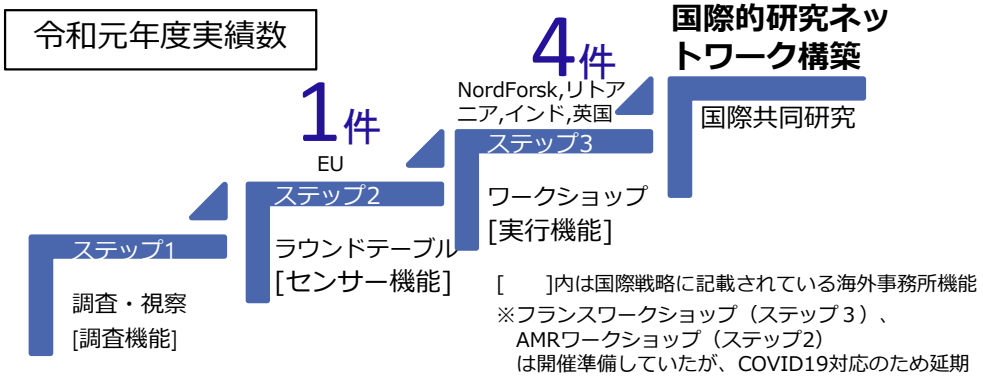
評価軸 海外事務所を活用しつつ、共同研究の調整・推進や情報収集・発信等を行っているか。

令和元年度評価

1件のラウンドテーブル、4件のワークショップ等を開催し国際的なネットワーク構築を推進

- **国際連携の進め方のステップの中での各事務所の貢献状況【右図】**
  ステップ1：海外動向調査・視察
  ステップ2：AMED戦略・事業に資する海外先進ワークショップ
  ステップ3：AMED国際戦略を推進する縦横連携ワークショップ

→ **国際的研究ネットワーク構築を推進**



期間実績評価

海外事務所と主要な研究資金配分機関（FA）や各事業との連携による国際連携を展開

主な活動実績	領域（地域）	FA等との連携推進	調査・視察による情報収集	イベント等での情報発信
ワシントンDC事務所	全般（北米・中南米）	• NIH：研究支援情報の公的データベース（World RePORT）等での連携 • NAM：Healthy Longevity Grand Challenge の共同実施 • NSF：International Brain Initiativeの会合に参加 • Japan Clinical Trials in Oncology WSを在米大使館と共同開催（3回）	• 北米・中南米の医療分野研究開発の最新動向調査 • バイオテックエコシステム（ボストンのベンチャー企業育成）視察 • NIH、ガルベストン国立研究所BSL4施設視察 • All of Us 研究プログラムについての調査、NIHにおけるエージング研究開発ファンディングのトレンド調査　等	• 桜まつりストリートフェスティバルでのNIHとの共同展示 • 在米日本人研究者向けに海外から応募が可能なAMED公募情報を発信 • HFSP30周年記念セミナーを在米日本大使公邸にて開催
シンガポール事務所	全般（アジア・大洋州）	• シンガポールA*STAR：再生医療分野WS開催 • オーストラリアNHMRC、米国NIAID, ニュージーランドHRC：がん、感染症分野WSの開催 • 科学技術合同委員会、e-ASIA理事会等に参加 • オーストラリアNHMRC、米国NIAID, タイNASDA：AMRのWS企画（次年度に延期）	• アジア、大洋州の医療研究開発関連の最新動向調査 • 豪NHMRCやニュージーランドHRCでの公募審査会（Peer Review Panel）視察による評価手法の調査 • マレーシア・インドネシアにおけるSDGs調査	• 在ベトナム日本大使館と共催でベトナム研究者向けセミナーを開催 • タイ科学技術博覧会2018にAMED研究成果を出展 • Gene & Cell Therapy Symposium－遺伝子・細胞治療シンポジウムの開催を支援
ロンドン事務所	全般（欧州・アフリカ）	• 英MRC：認知症、感染症、再生医療分野での連携 • 科学技術合同委員会、GACDボードミーティング、WS等に出席	• 欧州・アフリカの医療研究開発関連の最新動向調査 • J-PRIDE事業の研究者と、日英の国際共同研究を検討するため現地研究機関の視察 • EU一般データ保護規則（GDPR）の施行に関する調査	• 「予防」に着目した地域介入等の研究を進めるための「ヘルシーエイジングに関するシンポジウム」を開催 • MRC及びJSPSと共同でヘルシーエイジングをテーマとしたワークショップを開催

Ⅰ(1)AMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等
⑦基金等を活用した中長期的な研究開発の促進等

令和元年度評価

評定(自己評価)	
B	①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について、①－１ 医療研究開発革新基盤創成事業(CiCLE)第4回(令和元年11月採択決定)公募の採択課題を決定し、支援を開始した。①－２「総合コンサルテーションによりオールAMEDで行う伴走支援」や「各課題の状況に合わせた丁寧な課題マネジメント」により、強化された新たなPS/PO体制の下で課題を推進している。事後評価を1課題に対して実施し、目標達成と評価した。①－３ 平成30年度第2次補正予算の政府出資金を活用した第5回公募を開始した。 ②健康・医療分野におけるムーンショット型研究開発等事業について、令和元年度補正予算において国から交付される補助金により基金を設置した。 以上より、「研究開発成果の最大化」に向けて成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められる。

①－１
外部有識者により構成される医療研究開発革新基盤創成事業課題評価委員会を設置し、CiCLEでは多様な分野の研究開発を対象とすることから、多数の専門委員を委嘱し、それら協力の下、医療研究開発革新基盤創成事業採択・評価会による公平で厳格な事前評価を実施した。その結果、第4回公募では49件の応募から10課題を採択した。

①－２
・多様な分野・事業フェーズの課題を推進するため、 PS4名とPO17名の体制からPS5名とPO21名に強化した。
・PS/POの下、 AMEDのCiCLE課題担当者、AMED関連部署(感染症研究課等) 、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、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。(右上②に続く↗)

①－２↘
・令和元年度において6課題において中間評価を実施した。さらに1課題において事後評価を実施し、目標達成として終了した。

①－３
平成30年度第2次補正予算を活用して第5回公募を開始した。「スタートアップ型ViCLE」において、提案上限額を原則3億円から原則10億円、開発期間を原則3年から5年に引き上げ、ベンチャーでも規模の大きい研究開発が実施できるよう改善した。特に、新型コロナウィルス対策として、スピード感を持った研究開発を実施するため、通常スケジュールとは異なる迅速審査を設計し、関係府省庁へ提案し、通常の提案に先立ち新型コロナ案件に限る早期採択を2回行うことを含めた全3回の公募を行うこととした。

②
ムーンショット型研究開発等を推進するため、科学技術・イノベーション創出の活性化に関する法律に基づき、国から交付される補助金により基金を設置した。

Ⅰ(1)AMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等
⑦基金等を活用した中長期的な研究開発の促進等

期間実績評価

評定（自己評価）	
B	①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について、①－１ 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1～5回公募を実施した。①－２「総合コンサルテーションによりオールAMEDで行う伴走支援」や「各課題の状況に合わせた丁寧な課題マネジメント」により、強化された新たなPS/PO体制の下で課題を推進している。事後評価を1課題に対して実施し、目標達成と評価した。 ②健康・医療分野におけるムーンショット型研究開発等事業について、令和2年度からムーンショット型研究開発の公募・採択等の本格化に向け、必要な基金を設置した。 以上より、「研究開発成果の最大化」に向けて成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められる。

	H27	H28	H29	H30	R1	見込	期間
自己評価	-	B	B	B	B	B	B
主務大臣評価	-	B	B	B		B	

①－１
・ 28年度第2次補正予算550億円を活用して、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CiCLEを設計し、第1回公募と第2回公募を実施し、それぞれ7課題と10課題を採択した。
・ 29年度第1次補正予算300億円を活用して、 第3回公募を実施した。スタートアップ型のベンチャー企業が利用しやすい「スタートアップ型（ViCLE）」も追加で設定した。 一般型において10課題、ViCLE において4課題採択した。
・ 30年度第2次補正予算250億円を活用して、 第4回公募ではViCLEの委託費の下限を引き下げ、ベンチャーが申請しやすいように見直し、一般型7課題、ViCLEにおいて3課題採択した。第5回公募では、ベンチャーでも規模の大きい研究開発が実施できるよう改善し、特に、新型コロナウィルス対策として、スピード感を持った研究開発を実施するため、通常スケジュールとは異なる迅速審査を設計し、関係府省庁へ提案し、通常の提案に先立ち新型コロナ案件に限る早期採択を2回行うことを含めた全3回の公募を行うこととした。

①－２
・多様な分野・事業フェーズの課題を推進するため、 PS3名とPO1名の体制から、PS5名とPO21名の体制に強化した。
・PS/POの下、AMEDのCiCLE課題担当者、AMED関連部署（感染症研究課等）、外部有識者、外部コンサルタント（薬事、知財、財務、マーケティング、等）らによるチームの形成を行い、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。
・平成30年度において、4課題に対して中間評価を実施した。令和元年度において、 6課題に対して中間評価行い、1課題に対して、事後評価を実施し、目標達成と評価され、成功に導いた。

②
・令和２年度に政府による研究開発目標が決定されることを踏まえ、ムーンショット型研究開発制度の円滑な運用等を図るため、基金を令和２年３月に設置した。

Ⅰ(1)AMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等
⑦基金等を活用した中長期的な研究開発の促進等

期間実績評価

令和元年度評価

①－1　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

【イノベーション創出環境整備タイプ】　【研究開発タイプ】　【実用化開発タイプ】

第１回公募結果（７課題）（H29年度実施）

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

第２回公募結果（10課題）（H29年度実施）

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

Ⅰ(1)AMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等
⑦基金等を活用した中長期的な研究開発の促進等

期間実績評価

令和元年度評価

①－1　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

【イノベーション創出環境整備タイプ】　【研究開発タイプ】　【実用化開発タイプ】

第3回公募結果（14課題）（H30年度実施）

公募タイプ：一般型

採択課題名	代表機関名
リバースジェネティクス法を用いた新規インフルエンザワクチン株の創成	一般財団法人化学及血清療法研究所
遺伝性眼科疾患に対する遺伝子治療薬の研究開発	参天製薬株式会社
病的近視に対する光線架橋療法の研究開発	参天製薬株式会社
網膜中心動脈閉塞症に対する神経保護薬の開発	千寿製薬株式会社
血友病Bに対する遺伝子治療用製品の研究開発	田辺三菱製薬株式会社
フレイルの予防薬・治療薬の研究開発	帝人株式会社
新規迅速遺伝子診断法ならびに非臨床PK/PD理論を活用した新規β-ラクタマーゼ阻害剤（OP0595）の単味製剤の研究開発	Meiji Seikaファルマ株式会社
肝硬変の生命予後を改善する革新的抗線維化薬の研究開発	大原薬品工業株式会社
至適分解性により術後遠隔期に血管再生を促す生体吸収性マグネシウム合金スキャフォールドの非臨床・臨床POC取得	株式会社日本医療機器技研
アルツハイマー病の新規治療薬の創出	日本臓器製薬株式会社

公募タイプ：ViCLE

採択課題名	代表機関名
造血幹細胞の体外増幅技術の開発と移植医療への応用	ネクスジェン株式会社
Tribを標的とする急性骨髄性白血病の創薬研究	ファイメクス株式会社
制御性T細胞の減弱作用と分子標的阻害による新規固形がん治療法の開発	レグセル株式会社
液相セグメント合成法による核酸大量製造法開発	四国核酸化学株式会社

※イノベーション創出環境整備タイプの採択は無し。

Ⅰ(1)AMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等
⑦基金等を活用した中長期的な研究開発の促進等

期間実績評価
令和元年度評価

①－1　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

【イノベーション創出環境整備タイプ】　【研究開発タイプ】　【実用化開発タイプ】

第4回公募結果（10課題）（令和元年度実施）

公募タイプ：一般型

採択課題名	代表機関名
全身性エリテマトーデス（SLE）に対する新規治療薬の開発	第一三共株式会社
万能インフルエンザワクチンの研究開発	大日本住友製薬株式会社
NY-ESO-1特異的高機能ゲノム編集T細胞の製造基盤技術の確立	Repertoire Genesis株式会社
遺伝子組換えヒト肝細胞増殖因子を用いて世界に先駆ける「成因に制限されない肝硬変疾患修飾薬」の創出	EAファーマ株式会社
産学連携オールジャパン体制による本邦Toll様受容体研究の実用化:全身性エリテマトーデス薬の創製	エーザイ株式会社
患者レジストリを活用した日本発の新規作用機序を有する革新的デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療薬の開発	大鵬薬品工業株式会社
精神症状を伴う月経前症候群/月経前不快気分障害患者に対するピリドキサミンの臨床開発	株式会社レナサイエンス

公募タイプ：ViCLE

採択課題名	代表機関名
アンチセンス核酸を用いた脊髄損傷治療薬の開発	ルクサナバイオテク株式会社
家族性小児四肢疼痛発作症に対する新規治療薬の研究開発	AlphaNavi Pharma株式会社
ナノゲル型広域肺炎球菌経鼻ワクチン治験のための原薬及び製剤のGMP製造	株式会社HanaVax

※イノベーション創出環境整備タイプの採択は無し。

Ⅰ(1)AMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等
⑦基金等を活用した中長期的な研究開発の促進等

期間実績評価 | 令和元年度評価 | **伴走支援**

①－2

CiCLE支援課題

PS/POによる支援課題マネジメント
- 研究開発の指導・助言等
- 研究開発の進捗管理
- 研究開発や技術動向等の情報の提供
- 知的財産の管理等への助言・支援
- 既存AMED事業・採択課題との連携支援
- CiCLE採択課題間の連携支援

基盤的事業連携支援チーム（チームA）
- CiCLE担当PS/PO
- 革新基盤創成事業部
- AMED関係部署（創薬戦略部ほか）
- 外部有識者

情報共有

感染症分野支援チーム（チームB）
- CiCLE担当PS/PO
- 感染症ﾌﾟﾛｼﾞｪｸﾄ担当PS/PO
- 革新基盤創成事業部
- AMED関係部署（戦略推進部感染症研究課ほか）
- 外部有識者
- オブザーバー

複合リスク関連疾患課題支援チーム（チームC）
- CiCLE担当PS/PO
- 革新基盤創成事業部
- AMED関係部署（戦略推進部難病研究課ほか）
- 外部有識者
- オブザーバー

ベンチャー支援チーム（チームV）
- CiCLE担当PS/PO
- 革新基盤創成事業部
- AMED関係部署（産学連携部ほか）
- 外部有識者
- オブザーバー

【CiCLEの伴走支援】

総合的コンサルテーションにより、支援課題の目標達成及び開発費返済完了の確度を上げる。取りまとめは革新基盤創成事業部が行う。

革新基盤創成事業部における支援課題進捗管理

各種報告書等の確認・受領や中間評価・事後評価等の課題進捗に関する定型的な業務

【CiCLEの進捗管理】

Ⅰ(1)AMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等
⑦基金等を活用した中長期的な研究開発の促進等

期間実績評価　令和元年度評価　**中間評価・事後評価**

①－2

平成30年度　中間評価　4課題

課題名	代表機関名	評価結果
経口コメ型バイオ医薬品のプラットフォーム化を目指した実証研究	アステラス製薬株式会社	継続可
産医連携拠点による新たな認知症の創薬標的創出	エーザイ株式会社	継続可
がん医療推進のための日本人がん患者由来PDXライブラリー整備事業	株式会社LSIメディエンス	継続可
オピオイドδ受容体活性化を機序とする画期的情動調節薬の開発	日本ケミファ株式会社	継続可

令和元年度　中間評価　6課題

課題名	代表機関名	評価結果
サイトメガロウイルス（CMV）特異的完全ヒト型モノクローナル抗体の臨床POC確立	ノーベルファーマ株式会社	継続可（一回目）
経口コメ型バイオ医薬品のプラットフォーム化を目指した実証研究	アステラス製薬株式会社	中止
薬剤耐性（AMR）菌感染症治療薬を目的とした創薬研究	大日本住友製薬株式会社	継続可
サイトメガロウイルス（CMV）特異的完全ヒト型モノクローナル抗体の臨床POC確立	ノーベルファーマ株式会社	継続可（二回目）
新規迅速遺伝子診断法ならびに非臨床PK/PD理論を活用した新規β-ラクタマーゼ阻害剤（OP0595）の単味製剤の研究開発	Meiji Seikaファルマ株式会社	継続可
タンパク質構造解析のハイスループット化へ向けた装置開発	日本電子株式会社	継続可

令和元年度　事後評価　1課題

課題名	代表機関名	評価結果
特殊ペプチド原薬のCMO創設	ペプチスター株式会社	**目標達成**

Ⅰ(1)AMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等
⑦基金等を活用した中長期的な研究開発の促進等

①－1
①－3
令和元年度評価　期間実績評価

CiCLE公募

第1，2回公募：28年度第2次補正予算550億円
第3回公募　：29年度第1次補正予算300億円
第4,5回公募　：30年度第2次補正予算250億円

研究開発／環境整備の提案者　　**特許等の権利者**

応募

成果利用料
※2

日本医療研究開発機構（AMED）

・課題の評価
・代表機関への委託費支払い

返済
（15年以内（年賦返済等））

成果利用料
※2

代表機関（日本国内に法人格を有する機関）

研究開発／環境整備

目標達成※1 → 成果実施（製造、販売、サービスの提供等）

目標未達※1 →
- AMED支払額の10%を返済
- 取得した物品等のAMED評価額をAMEDに支払（一部例外あり）
- 継続実施不可

○ 一般型

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

期間：原則、最長10年（委託期間終了後15年以内の返済）
金額：原則、最大100億円／課題（実用化開発タイプは原則、最大50億円／課題）

○ スタートアップ型（ViCLE）

※第3,4,5回公募に実施

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

期間：原則、最長3年（第3，4回）
　　原則、最長5年（第4回）
　　（委託期間終了後15年以内の返済）
金額：原則、1～3億円／課題　（第3回）
　　原則、5千万～3億円／課題　（第4回）
　　原則、5千万～10億円／課題（第5回）
※担保／債務保証に緩和措置あり

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

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

Ⅰ(1)AMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等
⑦基金等を活用した中長期的な研究開発の促進等

評価軸

実用化が困難な革新的医薬品・医療機器等の実用化開発の不確実性を踏まえ、採択のための審査（事業計画・事業目標の審査を含む）、進捗確認や課題の相談、終了時の目標達成状況等の評価（判断基準の策定を含む）など、政府出資を活用して研究開発等を支援するために必要な実施体制を構築しているか。

令和元年度評価　期間実績評価

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においては、採択や終了時の評価において、より専門性の高い査読を図るべく、第１回公募（平成29年3月～平成29年4月24日）の事前評価において、専門委員31名で査読した。第２回公募（平成29年4月25日～平成29年8月31日）の事前評価では、さらに強化すべく、専門委員を101名とした。また、第３回公募（平成30年3月7日～平成30年5月31日）において、スタートアップ型（ViCLE）が加わることを踏まえ、事業性評価を強化する観点から、ベンチャーキャピタリストや起業経験者等を追加し、専門委員を118名に強化した。さらに、第4回公募に向けて、専門委員を122とし、不足気味の分野等を強化し、評価を実施した。

他方、課題評価委員会の委員については、第１回公募の事前評価では13名であったのに対し、第2,3回公募の事前評価では専門分野を考慮し、14名の体制で審査を実施した。第4回公募においては、委員の専門性を考慮し、委員の入れ替えを行い13名の体制とした。

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

Ⅰ(1)AMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等
⑦基金等を活用した中長期的な研究開発の促進等

評価軸 事業フェーズに応じた適切な研究開発マネジメントを行っているか。

令和元年度評価 **期間実績評価**

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においては、多様な分野・事業フェーズの課題を推進するため、 PS 3名とPO1名の体制から、PS4名とPO17名の体制にし、令和元年度にはPS5名とPO21名の体制に強化した。伴走支援と中間評価については本資料中、補足説明資料を参照のこと。

評価軸 AMEDの取組状況や事業の進捗状況について、所管府省に適宜報告をしているか。改善を求められた場合は、これに適切に対応しているか。

令和元年度評価 **期間実績評価**

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においては、適切な頻度で報告をしており、ViCLEの申請金額の下限を下げて欲しいというベンチャーのニーズについて所管府省と検討し、第4回公募において、申請金額の下限を1億円から5000万円に変更する等の改善策を図った。さらに、第5回公募においては 、ViCLEの提案上限額を原則3億円から原則10億円に引き上げ、開発期間を原則3年から5年に引き延ばし、ベンチャー企業でも規模の大きい研究開発が実施できるように設計を改善した。また、新型コロナウィルス対策として国民の命と健康を守ることを最優先に、スピード感を持った研究開発を実施するため、新型コロナウイルス課題は通常スケジュールから前倒しした採択を行うこととした。

さらに、医療研究開発革新基盤創成事業の採択・評価会において、所管府省にもアドバイザーとして出席してもらっている。

Ⅰ(1)AMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等
⑦基金等を活用した中長期的な研究開発の促進等

評価軸	国から交付される補助金による基金を設置し、研究開発を推進する体制の整備が進捗したか。

令和元年度評価　期間実績評価

科学技術・イノベーション創出の活性化に関する法律（平成20年法律第63号）に基づき、 基金補助金の交付を受けるため、「基金設置規程」を制定し、内閣府制定の補助金交付要綱に基づき、基金造成事業に係る補助金の交付を受け、基金造成を行った。また、ムーンショット型研究開発等を推進するために必要な人件費等の管理費については、文部科学省、厚生労働省及び経済産業省の各省が交付する補助金により運用するため、各省の補助金交付要綱に基づき毎年度、補助金交付を受ける体制が確立された。

令和2年度以降、健康・医療戦略本部が決定するムーンショット目標の実現に向けた取組等が本格化される。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクト の実施
①医薬品創出

令和元年度評価

評定 （自己評価） A	AMED内外において積極的に連携、創薬関連業務を実施。この結果、企業導出目標5件に対して、**令和元年度単年度で63件の企業導出を達成**【シーズ15件（悪性腫瘍： 4件、感染症：2件 等）、技術：48件（抗体生産：12件 等）】。 具体的には、①全般的取組としては、創薬分野での産学連携を一層推進。COVID-19の医薬品開発における製薬協との迅速な連携、AMED抗菌薬産学官連絡会における連携体制強化、GAPFREE等における産学連携プロジェクトの推進、寄附金事業の創設など業界との連携を重視。この他、シード化合物を生産する菌株の優先的な使用を可能とするNITEとの連携を開始など。②研究開発の成果としては、筋ジストロフィーに対する国産初の核酸医薬品開発における薬事承認、国産の高性能な抗体生産用CHO細胞を用いた各企業との協働開発開始、さらに連続培養に成功、膵臓・胆道癌の早期診断に係る先駆け審査指定制度の対象品目指定、RSに関して、薬物動態や薬剤応答のモデル解析に関するガイドライン案の作成など。③支援基盤については、BINDSのクライオ電子顕微鏡に関する若手の滞在型研修プログラムの実施、画期的な論文の創出、PSPO主導による事業内連携の推進、創薬支援NWのシーズ収集機能強化など。CINについては、患者レジストリ検索システムを構築・公開、産学協同によるレジストリ利活用のための改修の実施など 。以上より、「研究開発成果の最大化」に向けて顕著な成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められる。

①全般的取組

①-1　産学連携の推進（新型コロナウイルス感染症（COVID-19）の医薬品開発における製薬協との迅速な連携、AMED抗菌薬産学官連絡会におけるAMR菌株の供給等や疾患ごとのアプローチを議論する分科会の新設、及びGAPFREEにおける臨床試験の開始、BINDSにおける関係拠点と産業界との連携強化、寄附金を原資とした研究奨励金制度の創設　など）。

①-2　公的機関等との連携（NITEと希少放線菌培養抽出物活用に関する連携の開始　など）

①-3　AMED内連携（遺伝子治療製造技術開発プロジェクトのオープンラボ開設、遺伝子事業と難病事業との連携ワークショップの開催　など）

②研究開発

国産初の核酸医薬品開発(薬事承認済み) 。国内抗体製造体制構築に向け国産の高性能な抗体生産用CHO細胞を用いた各企業との協働開発開始、さらに連続培養に成功。体液中マイクロRNAの検出による膵臓・胆道癌の早期診断技術を活用した、体外診断薬用医薬品が先駆け審査指定制度対象品目として指定、薬物動態や薬剤応答のモデル解析に関する3種のガイドライン案を作成（うち1報はガイドラインとして発出済み）など

③支援基盤

③-1　BINDS事業に関し、OIST（沖縄科学技術大学院大学）におけるクライオ電子顕微鏡に関する若手人材育成プログラムの開始、画期的な論文の創出、PSPOによる進捗把握、重点化課題の認定等。COVID-19の治療薬探索を目的した既存薬のインシリコスクリーニングの開始　など

③-2　創薬支援NWに関し、シーズ収集機能強化、中分子ライブラリーの運用方針(案)の策定開始、3件の導出を達成、脊髄損傷急性期治療薬の希少疾病用医薬品指定　など

③-3　クリニカル・イノベーション・ネットワーク（CIN）に関し、レジストリ保有者と企業の産学協同によるレジストリ利活用のための改修実施　など

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクト の実施
①医薬品創出

期間実績評価

AMED

評定（自己評価）
S

①全般的な取組としては、業界との連携を重視、製薬企業各社が有する各種アセットを集約したDISC/創薬インフォマシステムの構築、GAPFREE型産学連携スキームの構築、PMDA等との連携によるRS研究の推進、研究マネジメント（チェック項目）の運用など。②研究開発成果としては、腎慢性疾患の臨床試験に関するGL策定などRSの成果、筋ジストロフィーに対する国産初の核酸医薬品開発における薬事承認、国内抗体製造技術開発、など。③創薬支援基盤としては、創薬支援NW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。「オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト」を通じ、成果目標の中で最も重要な**企業導出について目標を大きく上まわる225件を達成**するとともに、業界との密な連携により、AMED主導の新たな産学連携体制構築に大きく貢献した。以上より、「研究開発成果の最大化」に向けて、特に顕著な成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められる。

	H27	H28	H29	H30	R1	見込	期間
自己評価	A	A	A	S	A	A	S
主務大臣評価	A	A	A	A		A	

①全般的取組

①−1　創薬分野の産学連携推進
- 製薬企業の各種アセットを集約したDISC/創薬インフォマシステム構築
- 新たな産学官共同研究プロジェクト（GAPFREE）を計4プロジェクト実施
- 製薬協と連携したBINDS「企業利用ルール」策定など、産業界のニーズを踏まえたスキームを構築
- 民間資金（寄附金）を活用した生物統計家育成支援事業による育成スキーム構築、研究奨励金制度の創設

①−2　公的機関との連携
- PMDA/国衛研との連携を含むRS研究の推進、NIH・NCATS等との国際コンソーシアム参画/総説公表　など

①−3　AMED内連携
- 研究マネジメントチェック項目（医薬品）のAMED内事業における活用　など

②研究開発

②−1　PMDAと連携した、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（eGFR変化率の低下を代替エンドポイントとし、観察期間とサンプルサイズを短縮）作成など、レギュラトリーサイエンス研究を推進

②−2　デュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）を対象とした国産初の核酸医薬品などの希少疾病治療薬開発(薬事承認済)

②−3　技術研究組合による国内抗体製造トータルプラットフォーム化の実現　など

（②−2）

DMD患児



出典：埜中征哉
臨床のための筋病理 第4版

- 男の子が生まれるごとに、1/4,000−5,000人
- ジストロフィン遺伝子の変異が原因
- 筋力が弱くなり、筋量も減る
- ステロイド剤の他に確立した治療がない

③支援基盤

③−1　BINDSによるワンストップ相談窓口創設、3年間で2,030件の支援、クライオ電子顕微鏡NWの構築　など

③−2　創薬支援推進ユニット構築、臨床研究中核病院との連携などによる創薬エコシステムの構築、創薬支援NWで9件の導出を達成　など

③−3　CINについて、患者レジストリ検索システムを構築・公開、企業ニーズを踏まえたレジストリの改修を産学共同にて実施　など

④KPI

【2020年までの達成目標】	2020年3月迄の累積達成状況
相談・シーズ評価（1,500件）	1,659件
有望シーズへの創薬支援（200件）	142件
企業への導出（5件）	225件
創薬ターゲットの同定（10件）	33件

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクト の実施
①医薬品創出

期間実績評価

① 全般的取組

①-1 創薬分野の産学連携推進

○製薬企業各社所有の化合物等民間アセットの集約・活用スキーム（DISC）、薬物動態等のデータ共有システム（創薬インフォマ）を構築・運用した。

○民間資金の活用・AMEDによるマッチングを通じた新たな産学連携スキーム（GAPFREE）を計4プロジェクト立ち上げ、これまでにオミックス分野、リバーストランスレーショナル・リサーチ、漢方・生薬原料の国内自給促進、創薬技術開発に関する産学連携PJを実施した。

○BINDSにおいて、製薬協と連携し「BINDS企業利用ルール」策定、「クライオ電顕勉強会」を立ち上げるなど、産学共同利用を推進した。

○感染症領域の産学連携推進のため、関連学会及び製薬協メンバーを中心に「AMED抗菌薬産学官連絡会」を設置した。

○製薬企業からの寄附金と国の研究資金を活用した生物統計家育成事業を整備。現在39名（修士1、2年）が在籍中。



①-2 公的機関等との連携

○RSに関し、PMDAと連携協定を締結、各種実用化研究実施に当たり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。また、国際的な規制調和に関して、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。

○米国NIH・NCATSを始めとする5カ国・地域/5機関から構成される国際的コンソーシアムTranslation Together（TT）に参画している。「TRに従事する人材の在り方」を示した総説を発表したほか、AMEDの主導で「TR国際用語集」の作成を進めている。

①-3 AMED内連携

○進捗状況等にかかる評価（Go/no-go判断）を個別に行うことにより研究成果を一層高めることを目的に、研究マネジメントチェック項目（医薬品）を作成、運用開始した。これまでに、医薬品の実用化に関する公募課題を有する17事業（約560課題）について活用した。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクト の実施
①医薬品創出

令和元年度評価

① 全般的取組

①-1 創薬分野の産学連携推進

○新型コロナウイルス感染症（COVID-19）の医薬品開発における製薬協との連携を迅速に進めた。

○「AMED抗菌薬産学官連絡会」について、「AMRサーベイランス分科会」等を設置、体制を強化した。

○GAPFREE1について、新たな2件の臨床試験、100報以上の英語論文の成果が示された。

○BINDSにおける産業界との連携強化、産業界のニーズを踏まえた「産学連携高度化推進PJ」を本格開始した。

○若手研究者を対象にした研究奨励金制度を創設、製薬企業等から広く寄附金を募集することとした。



COVID-19の医薬品開発におけるAMEDと製薬協の連携を国内外へ発信

①-2 公的機関等との連携

○独立行政法人製品評価技術基盤機構（NITE）と覚書を締結し、創薬総合支援事業の支援テーマにおいてNITEが保有する希少放線菌培養抽出物を活用する連携を開始した。



NITEとの覚書締結

①-3 AMED内連携

○遺伝子治療用ベクター製造施設（オープンラボ）、サルの非臨床試験設備を整備。アカデミアシーズの非臨床試験用ベクター製造に役立てることを目的とし、難病事業との連携ワークショップを開催した。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクト の実施
①医薬品創出

期間実績評価

② 研究開発

②-1　医薬品等規制調和・評価研究事業

PMDAと連携し、腎領域における慢性疾患の臨床試験の観察期間を短縮しサンプルサイズを低減する代替エンドポイント（ eGFR変化率の低下[30～40%]）に関するガイドライン案を作成・公表した。インフルエンザ治療薬と異常行動に関する疫学研究等により、関連医薬品の添付文書の注意喚起が変更された。

②-2　臨床研究・治験推進研究事業

これまでの5年間で導出：14件（シーズ7件・技術7件）、臨床研究・治験：45件、薬事承認申請：10件、薬事承認取得：10件などの成果を達成。具体例として、国産初の核酸医薬品（ジストロフィン遺伝子を標的にしたエクソン53スキップ薬）が平成27年度に先駆け審査指定制度の対象品目となり、令和2年3月に薬事承認を取得した。

②-3　次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業

これまでの5年間で33件（シーズ4件・技術29件）の導出を達成した他、技術組合員による製品化等につながった事例も約40件となった。具体的には、バイオ医薬品製造技術について、バイオ医薬品製造のトータルプラットフォーム化の実現と、国産の高性能な抗体生産用CHO細胞株の樹立に成功した。53,000検体以上の血清中のマイクロRNAを網羅的に解析し、癌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。

②-4　創薬基盤推進研究事業

これまでのAMED5年間で9件（技術8件）の導出を達成した。民間資金の活用・AMEDによるマッチングを通じた産学連携スキーム（GAPFREE）をAMED設立初年度に創設。これまでにオミックス分野、リバーストランスレーショナル・リサーチ、漢方・生薬原料の国内自給促進、創薬技術開発に関する産学連携PJを実施。創薬技術に関し、環環境負荷が少なく、効率、安全面でも優れている連続フロー合成法を開発するとともに、マイクロフロー技術によるペプチド合成法を開発し、短時間・高収率なペプチド合成に成功した。

②-5　革新的先端研究支援事業（インキュベートタイプ）

革新的な機能アッセイ法等の技術開発や多数の創薬ターゲットを同定するなど、9件の導出、33件の創薬ターゲットの同定（がん関連12件・インフルエンザ関連21件）を達成。具体的には、臨床的意義不明な遺伝子変異に着目し、数百種類の遺伝子変異の働きを一度に解析可能な「MANO法」を開発、幅広いがん腫を対象に治療薬と遺伝子変異の関係を明らかにするとともに、治療薬の有効・無効の判断等が可能となった。

②-6　革新的バイオ医薬品創出基盤技術開発事業、先端的バイオ創薬等基盤技術開発事業

事業終了時までに40件（シーズ1件・技術39件）の企業導出を達成。具体的には、抗体医薬品を高機能化する技術開発により、日本メジフィジックス（株）に導出され、医療研究開発革新基盤創成事業（CiCLE）において、がん診断・治療薬の開発研究が進行中。また、令和元年度より後継事業として先端的バイオ創薬等基盤技術開発事業が開始された。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクト の実施
①医薬品創出

令和元年度評価

② 研究開発

②-1 臨床研究・治験推進研究事業

国産初の核酸医薬品（ジストロフィン遺伝子を標的にしたエクソン53スキップ薬）が、令和2年3月に薬事承認を取得した。この他にもオクトレオチド（ソマトスタチンアナログ）の持続皮下注が先天性高インスリン血症治療薬として公知申請による薬事承認申請がなされた。

②-2 次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業

抗体連続生産技術については、要素技術開発及びそれらを統合化した生産システム構築などの技術開発を実施し、令和元年度はCHO-MK細胞の連続培養に成功。また、要素技術開発の成果として、糖鎖分析用試薬、小型培養システム等の製品化や国産の高性能な抗体生産用CHO細胞の実用化に向けて複数企業と開発契約を締結した。

がん細胞等が分泌する特定のマイクロRNA検出技術を開発、令和元年度には、膵臓・胆道癌検査キットが体外診断用医薬品として先駆け審査指定制度の対象品目となった。





②-3 医薬品等規制調和・評価研究事業

細胞加工製品の造腫瘍性評価試験法および体内動態試験法の標準プロトコール作成と多施設検証を実施し、当局を含めた関係者間で造腫瘍性評価の考え方と試験法における合意を形成した。さらに、国際コンソーシアム（HESI）にて意見交換を行い、留意点文書として発表した。

薬物動態や薬剤応答のモデル解析に関する3種のガイドライン案を作成した。このうち「母集団薬物動態／薬力学解析ガイドライン」に関しては令和元年5月にガイドラインとして発出済み。

②-4 創薬基盤推進研究事業

民間資金の活用・AMEDによるマッチングを通じた産学連携スキーム（GAPFREE）をAMED設立初年度に創設。最初に実施したGAPFREE1では新たな2件の臨床試験、これまでに100報以上の英語論文の成果を創出した。

医薬品シーズに関し、中分子化合物ライブラリーが構築され、生物学的評価からライブラリーの有用性が検証された。さらにAIを活用したスクリーニングも可能であることが示された。また、新たな予防手段となりうる、粘膜での抗体産生を増加させる革新的な粘膜免疫誘導型アジュバントを見いだした。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクト の実施
①医薬品創出

③ 支援基盤

期間実績評価

③-1 創薬等ライフサイエンス支援基盤事業（BINDS）

- 利用者のユーザビリティ向上のため、支援窓口を一本化し、BINDS傘下の計60課題についてワンストップサービスを構築した。これら取り組みにより、BINDS開始からの3年間で前身の事業（5年間）の累積支援件数約1,000件を上回る2,030件の支援を達成した。
- 国内の有限な電顕資源の有効活用を目的として、H30年度に「BINDSクライオ電子顕微鏡ネットワーク」を構築。新規網かご状タンパク質を開発し、その構造が特異な正多面体形状であることを明らかする（Nature on line, 2019/5/9）など、クライオ電子顕微鏡による画期的な成果（論文、学会発表など）が表れている。

③-2 創薬支援推進事業

- 「創薬支援ネットワーク」を平成26年度に構築。有望シーズ収集強化、新たなモダリティーへの対応として、国家戦略特区域内の臨床研究中核病院と連携、理研・基盤研・産総研が有する技術に加え、創薬に資する技術・機能を有する機関を創薬支援推進ユニットとして整備するなど、機能を拡充した。
- その結果、シーズ導出5件の目標に対し、同プロジェクト開始以降これまでの間で導出9件を達成した（さらに3件の導出に向けて準備中）。

③-3 クリニカル・イノベーション・ネットワーク（CIN）

- 患者レジストリに関し、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。平成29年度より患者レジストリ情報収集のための調査を実施、令和元年度に患者レジストリ検索システムを構築・公開した。また平成30年度には、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を産学協同にて実施し、レジストリデータの利活用のための基盤を整備した。

令和元年度評価

③-1 創薬等ライフサイエンス支援基盤事業（BINDS）

- 支援進捗管理に報告システムを導入し、PSPOが進捗状況を即時に把握、事業内連携／重点化に適した課題を新たに7課題認定した。
- クライオ電顕で画期的な論文の創出等、またOISTにおいて「滞在型人材育成プログラム」を開始、10名以上/年の人材育成を行っている。
- COVID-19の治療薬探索を目的として、既存薬のインシリコスクリーニングを開始した。

③-2 創薬支援推進事業

- シーズ収集能力強化のための国家戦略特区域内の臨床研究中核病院と連携において、事前面談、シーズ評価、支援を実施した。令和元年度の導出は3件であった（さらに3件の導出に向けて準備中）。
- タンパク-タンパク質間相互作用（PPI）標的に対応すべく、DISC中分子ライブラリーの構築に向け、参加製薬企業との間で意見交換等を実施し、運用方針（案）の策定を開始した。
- 事業で支援した「組換えヒトHGF蛋白質による脊髄損傷急性期治療薬」が令和元年9月12日付けで希少疾病用医薬品として指定された。

③-3 クリニカル・イノベーション・ネットワーク（CIN）

- 患者レジストリ検索システムを構築・公開、また産学協同にて企業ニーズを踏まえレジストリを改修、データの利活用のための基盤を整備した。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクト の実施
①医薬品創出

令和元度評価　期間実績評価

＜成果目標達成状況＞

KPI　【2020年までの達成目標】	① 令和２年3月迄の累積達成状況	② ①のうち、令和元年度の達成状況
相談・シーズ評価　1,500件	1,659件	283件
有望シーズへの創薬支援（200件）	142件	25件
企業への導出（5件）	225件	63件
創薬ターゲットの同定（10件）	33件	-

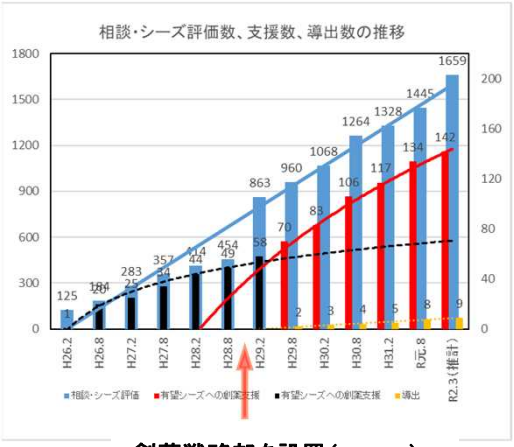
総括

○ **企業導出**

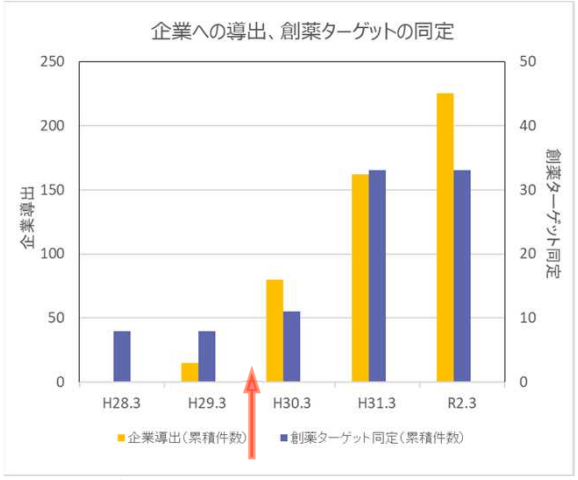
- 企業導出は成果目標の中でも研究成果の実用化に関する重要な指標であり、目標 5件に対し、これまでに225件を達成（うち 令和元年度だけで63件）。創薬支援NWだけでも令和元年度末までにシーズの企業導出9件を達成。さらに、10件目***【DISCを活用】***、11 、12件目についても導出に向けて準備中。

○ **その他**

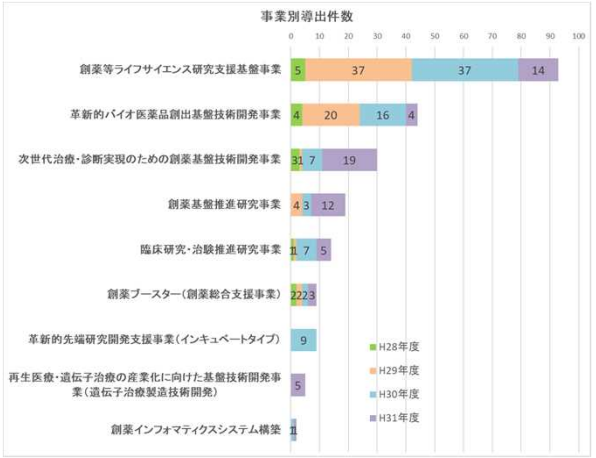
- 革新的医薬品創出が期待される相談・シーズ評価に関する指標についても、同プロジェクト実施期間の目標1500件を今年度達成、さらに令和元年度末までに1659件達成。
- 有望シーズへの創薬支援は目標未達となるが、創薬支援NWにおける導出達成率【企業への導出件数／有望・シーズへの創薬支援件数】については、当初目標2.5%（5件/200件）に対し、6.4%（9件/142件）を達成、創薬支援NWにおいて優れた目利き及び創薬支援を実施できたと考える。



創薬戦略部を設置（H29．7）



創薬戦略部を設置（H29．7）



【参考】
導出事例（平成27年度～令和元年度）【計225件（うち、シーズ56件、技術：169件）】

シーズ56件※（うち、令和元年度：15件※※）

※56件の内訳
①悪性腫瘍：20件 ②感染症：10件 ③中枢性疾患：8件 ④肝疾患：2件、筋骨格系疾患：2件 他
※※15件の内訳
①悪性腫瘍：4件 ②感染症：2件 ②炎症性疾患：2件 ④中枢性疾患、肝疾患、筋骨格系疾患：各1件 他

【緑内障を対象とした神経保護薬の探索】（創薬支援推進事業／創薬支援NW）
➡事例①紹介（11ページ）
・網膜神経節細胞に対する保護作用により病態の進行を抑制する新しいメカニズムの緑内障治療薬

【薬用植物】（創薬基盤推進研究事業）
➡事例②紹介（12ページ）
・医薬品原料用シャクヤクの品質と生産性を高めた新品種を開発
・新品種の育成により高品質・高収量化が可能となり収益性向上に期待

【脊髄損傷治療薬】（創薬支援推進事業／創薬支援NW）
・脊髄損傷患者を対象とした核酸医薬品
・神経軸索再生を促すことにより運動機能改善を目指す脊髄損傷治療薬

【熱帯性ウイルスワクチン】（創薬支援推進事業／創薬支援NW）
・デングウイルス感染予防ワクチン
・ウイルスの感染増強現象を引き起こす可能性を低減させ安全性に優れるワクチン

【マイクロRNA】（次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業）
・血液中マイクロRNA等を解析し、がん標的となる分子を同定し、そのアルゴリズムを作成、検証を目的とした探索研究を企業と協働で開始

【先天性高インスリン血症治療薬】（臨床研究・治験推進研究事業）
・ソマトスタチンアナログであるオクトレオチドの持続皮下注
・公知申請による薬事承認申請がなされ、現在審査中

【口内炎疼痛緩和薬】（創薬支援推進事業／創薬支援NW）
・がん治療中の口内炎の疼痛緩和薬
・既存薬と異なり、味覚・食感の知覚を遮断しないため、患者のQOL向上への貢献に期待

【筋ジストロフィー核酸医薬品】（臨床研究・治験推進研究事業）
・デュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）の進行抑制を目標にした、国産初 の核酸医薬品
➡事例③紹介（13ページ）
・平成27年10月に先駆け審査に指定され、令和2年3月に薬事承認取得

【HSVワクチン】（創薬支援推進事業／創薬支援NW）
・性器ヘルペス等の単純ヘルペスウイルス（HSV）に対するワクチン
・新規コンセプトによりHSVの感染又は繰り返し発症を防ぐことを目指す

【新規がん免疫アジュバント】（創薬支援推進事業／創薬支援NW）
・がん治療ワクチンの効果増強を期待
・化学療法や放射線療法が奏功せず、分子標的薬の適応とならないような難治性がん等へ適用

【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】（創薬支援推進事業／創薬支援NW）*【DISCを活用】*
・がん細胞で働く酵素の働きを抑えることで、既存薬が効かない前立腺がん、膵臓がん等への適用を目指す

【がん間質を標的とした抗体・薬物複合体】（創薬支援推進事業／創薬支援NW）
・薬物と抗体を結合させた抗がん剤
・悪性度の高いがんの組織学的特徴を標的とすることから、ほぼ全ての固形がんへの適用を期待

【NF-κB標的遺伝子の発現を阻害する抗がん剤の探索】（創薬支援推進事業／創薬支援NW）
・上皮がんをターゲット
・遺伝子の発現を調節するタンパク質を標的としてがん細胞の増殖を阻害 することで、抗がん効果を示すことを目指す

【参考】
導出事例（平成27年度～令和元年度）【計225件（うち、シーズ56件、技術：169件）】

技術169件※（うち、令和元年度：48件※※）

※169件の内訳
①抗体生産：59件 ②構造解析：27件 ③DDS：10件 ④タンパク質生産：9件 ⑤人工核酸：9件 他
※※48件の内訳
①抗体生産：12件 ②構造解析：8件 ③DDS：4件 ④インシリコ：3件 ⑤人工核酸、疾患動物：各2件 他

【国産CHO細胞】（次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業）
・バイオ医薬品の高度生産に関係する高性能な国産CHO細胞株（CHO-MK）を開発
・バイオ医薬品製造への国産CHO株の利用に向けて複数企業と協働開始
➡事例④紹介（14ページ）

【ヒト化マウス】（創薬等ライフサイエンス基盤事業（BINDS））
・人工染色体技術を用いて薬物排出に関わるMDR1をヒト化したマウスを作出
・医薬品候補化合物の評価に活用すべく企業と協働開始

【クライオ電顕人材育成】（創薬等ライフサイエンス基盤事業（BINDS））
・標的タンパク質の3次元構造解析実施による支援と解析ノウハウの提供による人材育成を目的とした企業との共同研究を開始

【化合物デザイン】（創薬基盤推進研究事業）
・アプタマー（特異的に標的物質に結合する能力を持った核酸分子）情報を低分子化合物のデザインに利用する技術を開発
・本技術を用いた低分子医薬品創製に向けて企業と協働開始

【クライオ電顕利用技術】（次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業）
・高分解能クライオ電顕による単粒子解析法がより広範に活用されるようにするため、遠隔の操作ができるシステムを開発
・革新的な創薬に向けて企業と協働開始

【DNA/RNAヘテロ2本鎖核酸】（革新的バイオ医薬品創出基盤技術開発事業）
・DNAとRNAのヘテロ2本鎖による革新的な核酸医薬を開発
・従来の核酸医薬に比べて臓器特異的な送達性能が向上

【インフォマティクスシステム構築】（創薬支援推進事業／創薬インフォマティクスシステム構築）
・創薬研究効率化のため、薬物動態と毒性の予測システムを開発
・国内主要製薬企業7社から提供された大規模データを集約
・予測システムを継続的に運用するための商用版システムの開発

【MANO法】（革新的先端研究開発支援事業）
・数百種の遺伝子変異の働きを一度に解析可能な手法を開発
・がん治療薬と遺伝子変異との関係・有効性を効率的に評価可能

【抗体薬物複合体】（革新的バイオ医薬品創出基盤技術開発事業）
・様々な機能性素子（抗がん剤、放射性核種、中枢移行性、細胞内移入性など）を抗体に付加できる技術を開発
・企業導出とCiCLE採択で開発加速

【人材育成プログラム】（創薬基盤推進研究事業）
・製薬協・PMDAと連携したバイオ医薬品品質管理人材育成プログラム
・（一社）バイオロジクス研究・トレーニングセンターへ導出し研修を開始

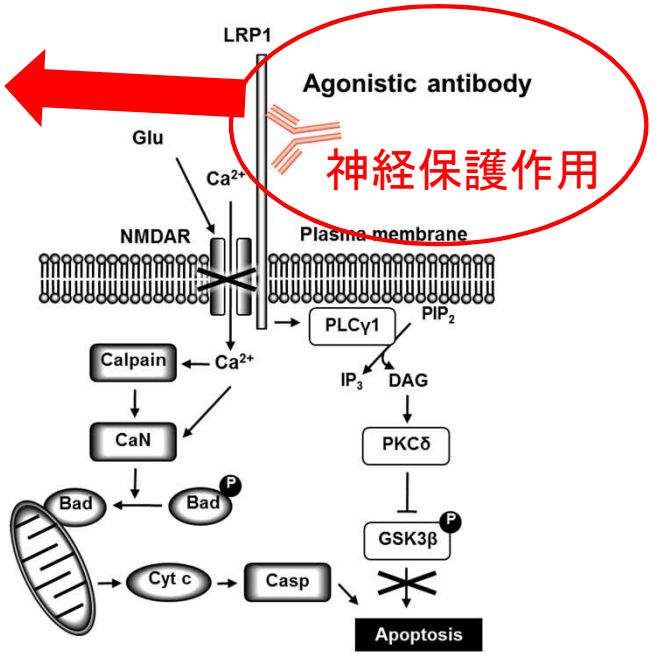
【抗体】（創薬等ライフサイエンス基盤事業（BINDS））
・作製した抗体（18種類）を試薬として4企業にそれぞれ導出
・導出された抗体は創薬研究等に活用

【疾患モデル動物作出法】（創薬等ライフサイエンス基盤事業（BINDS））
・従来、歩留まりが悪く非効率的だったゲノム編集法を工夫することで5～10倍効率化
・新規手法の実用化のために企業と協働開始

事例①

【緑内障を対象とした神経保護薬の探索】（創薬支援推進事業／創薬支援NW）
・網膜神経節細胞に対する保護作用により病態の進行を抑制する新しいメカニズムの緑内障治療薬

新規作用機序による緑内障治療薬の開発に期待



【主任研究者（PI）】 林　秀樹
（東京薬科大学　薬学部　准教授）

【標的疾患】 緑内障、特に正常眼圧緑内障

【創薬標的】 網膜神経節細胞 (retinal ganglion cell, RGC) に発現するLRP-1（LDL receptor related protein-1）

【医療ニーズ】 日本では正常眼圧緑内障が７割を占め、
眼圧をコントロールしてもなお進行する症例が多数存在している。
現在は眼圧下降が唯一の進行予防治療法となっており、新たな作用機構、特に網膜神経節細胞保護作用に基づく治療法開発が望まれている。

【創薬コンセプト】 網膜神経節細胞保護作用を有するLRP-1アゴニスト抗体による緑内障治療薬

【本シーズの魅力】
○　正常眼圧緑内障は現在、有効な治療薬がなく、本剤は最初の治療薬になることが期待される。
○　新規の作用メカニズム（神経保護作用）による治療効果が期待される。
○　糖尿病性網膜変性や加齢黄斑変性など他の病態に対しても有用な治療薬となる可能性がある。

【モダリティの設定】 抗体

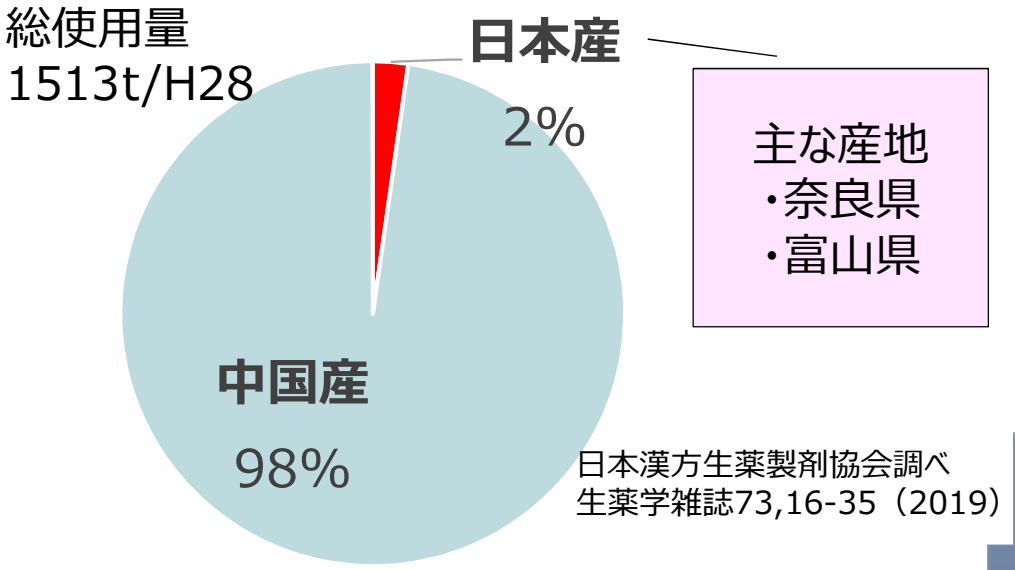
事例②

【薬用植物】（創薬基盤推進研究事業）
- 医薬品原料用シャクヤクの品質と生産性を高めた新品種を開発
- 新品種の育成により高品質・高収量化が可能となり収益性向上に期待

研究代表者：川原信夫（医薬基盤・健康・栄養研究所薬用植物資源研究センター）研究課題名：薬用植物の国内栽培推進を指向した基盤技術及び創薬資源の開発に関する研究

現状

日本産シャクヤクの使用率は2%だけ



主な産地
・奈良県
・富山県

日本漢方生薬製剤協会調べ
生薬学雑誌73,16-35（2019）

シャクヤク（芍薬）
・女性向けの漢方処方
当帰芍薬散などに配合





課題
- 中国での需要拡大による輸入量低下懸念
- 国内栽培拡大に向けた期待と課題

高品質・高収量の生薬の選別が不可欠

成果

★新品種「夢彩花」を新規品種登録
⇒ 薬局方適合した品質の安定した生薬
⇒ 日本の風土に適合し、国産化を牽引
⇒ 単位面積当たり高収量で収穫

収益向上し、参入しやすい
（医薬品素材 & 化粧品素材）

国産シャクヤクの生産拡大

事例③

【筋ジストロフィー核酸医薬品】(臨床研究・治験推進研究事業)

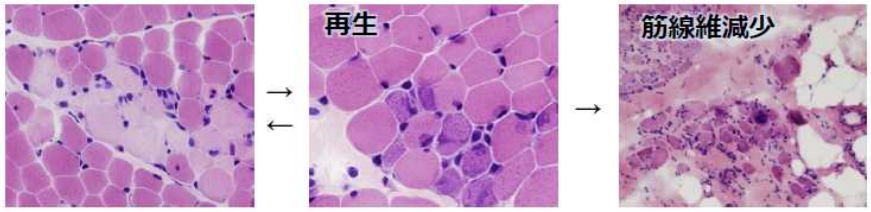
・デュシェンヌ型筋ジストロフィー(DMD)の進行抑制を目標にした、国産初の核酸医薬品
・平成27年10月に先駆け審査に指定され、令和2年3月に薬事承認取得

DMD患児

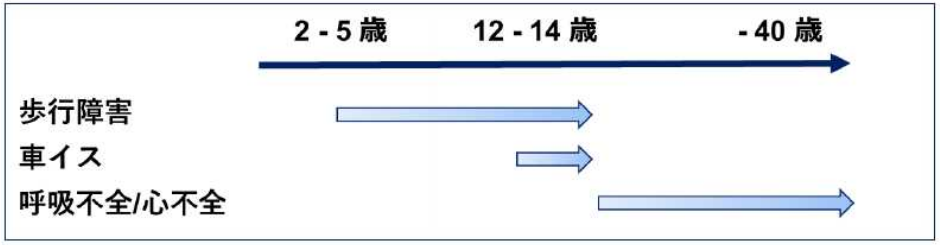


出典：埜中征哉
臨床のための筋病理 第4版

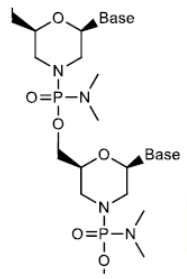
男の子が生まれるごとに、
1/4,000-5,000人
ジストロフィン遺伝子の変異が原因
筋力が弱くなり、筋量も減る
ステロイド剤の他に確立した治療がない



臨床経過



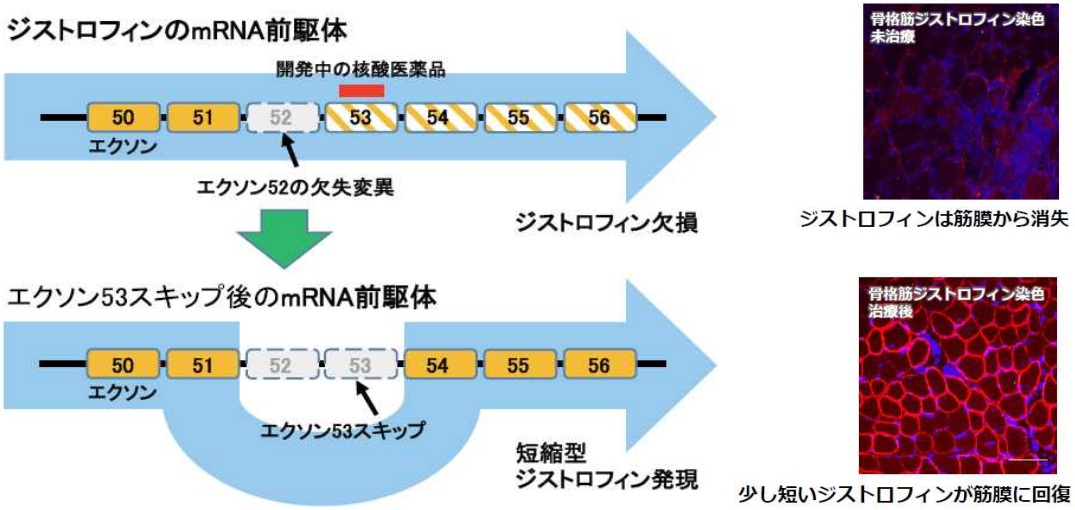
医師主導第Ⅰ相(ファースト イン マン)試験に成功



NS-065/NCNP-01：
ビルトラルセン(モルフォリノ核酸)
ジストロフィン遺伝子のエクソン53スキップを誘導
静脈内投与(点滴)により週1回, 12回投与
安全性・有効性を確認

Sci Transl Med. 2018

エクソン53スキップによるジストロフィンの回復



- 日本新薬(株)との共同開発
- 希少疾病用医薬品の指定制度
- 条件付き早期承認制度の対象品目

平成27年10月　先駆け審査指定品目に指定

令和2年3月　薬事承認取得

事例④

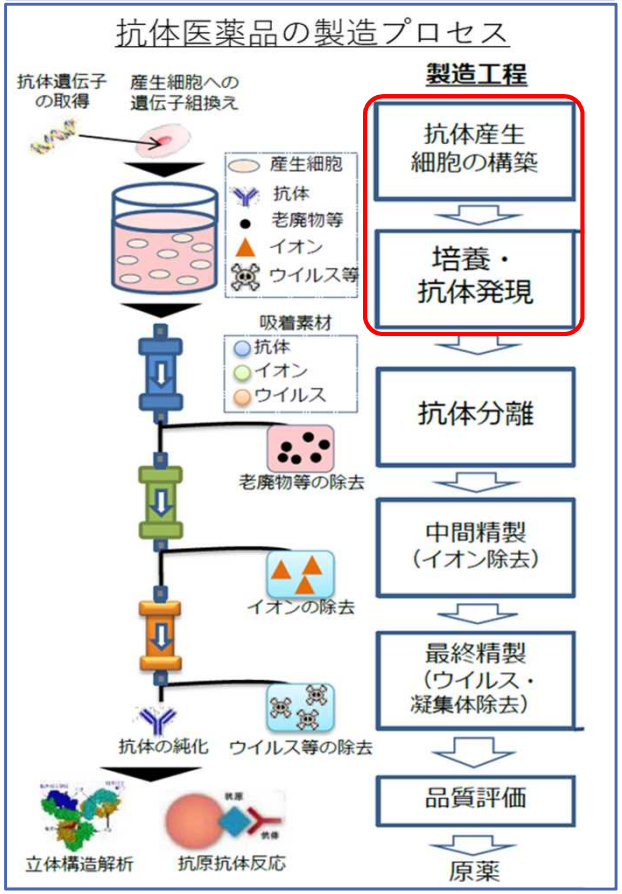
【国産CHO細胞】（次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業）

- バイオ医薬品の高度生産に関する高性能な国産CHO細胞株（CHO-MK）を開発
- バイオ医薬品製造への国産CHO株の利用に向けて複数企業との協働開始

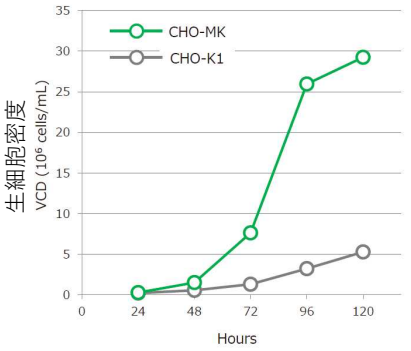
研究代表者：上平 正道（次世代バイオ医薬品製造技術研究組合）研究課題名：バイオ医薬品の高度製造技術の開発

バイオ医薬品製造の現状	課題	取り組み
大量製造から少量多品種製造へ バイオシミラーの増加	製造プロセス開発期間の短縮、製造コスト・製造期間削減が求められている	高性能抗体産生細胞株の開発 連続生産技術の開発（省スペース、スケールアップ不要）
製造プロセス・要素技術を 欧米企業が独占	高価な製造機器、細胞株ライセンス費用の高騰、製造プロセス開発の遅延	産生細胞構築技術を含む「上流プロセス」から「下流プロセス」の各要素技術開発・製品化とプラットフォーム化

要素技術開発と統合



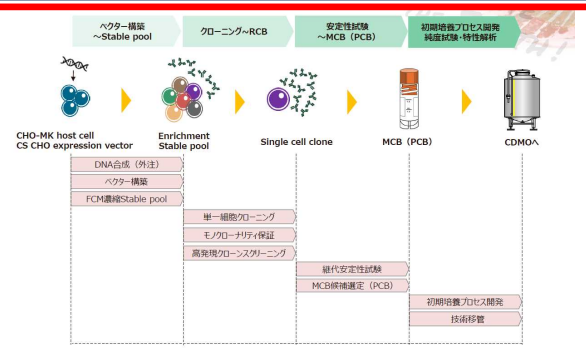
国産の高性能な抗体産生細胞CHO-MK株を開発



ATCC株CHO-K1と比較して
速い細胞増殖・高密度培養



短期間で
高い抗体産生量を達成



抗体医薬品産生細胞株の構築と
培養プロセス開発にかかる
期間の大幅短縮

商用生産時の
高額なライセンス費用の回避

抗体生産性の大幅向上
（培養時間と容積の削減・高生産量）

**複数企業・アカデミアと
抗体医薬品製造の協働開発を開始し、
CHO-MKを軸とした製造プラットフォームの社会実装とアカデミア創薬を推進。**

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクト の実施
①医薬品創出

評価軸

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

令和元年度評価

- 創薬等ライフサイエンス基盤事業（BINDS）については、クライオ電顕の人材育成体制の強化、産学官連携高度化推進PJの本格開始により重点化課題を選定した（前ページ等　①-1、③-1参照）。
- 創薬支援ネットワークについては、シーズ収集能力強化のための国家戦略特区域内の臨床研究中核病院との連携を進めるなど、アカデミアでのシーズ評価支援等を幅広く実施した（前ページ等　③-2参照）。
- この他、AMED抗菌薬産学官連絡会の体制強化、NITEとの覚書を締結するなど、大学等アカデミアや産業界と連携しながら、創薬支援のための基盤強化を図った（前ページ等　①-1 、①-2参照）。

見込評価

- 創薬等ライフサイエンス基盤事業（BINDS）については、「ワンストップ窓口」の設置、クライオ電顕NWの構築・運用、BINDSの利活用に関　する製薬協とのクロストークを通じ、事業開始からの3年間で約2,000件の支援を実施（前ページ等　①-1、③-1参照）
- 創薬支援ネットワークについては、その安定的運営と導出成果、臨床研究中核病院との連携、創薬支援ユニットの機能強化、DISCライブライリー・創薬インフォマシステムの構築・運用、産学官による意見交換等を継続して行った（前ページ等　①-1、③-2参照）。
- その他、民間資金を活用した生物統計家育成事業の実施、技術研究組合による抗体製造技術開発、CIN推進による患者レジストリ検索システムを構築・公開など、大学等アカデミアや産業界と連携しながら、創薬支援のための基盤強化を図った（前ページ 等　①-1、②-3、③-3参照）。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクト の実施
①医薬品創出

評価軸

・創薬ターゲットの同定に係る研究、創薬の基盤となる技術開発、医療技術の実用化に係る研究を推進し、革新的医薬品及び希少疾患治療薬等の開発を支援したか。

令和元年度評価

- 創薬支援ネットワークを通じたアカデミア創薬支援により、令和元年度単年度で3件の企業導出を達成。「組換えヒトHGF蛋白質による脊髄損傷急性期治療薬」の開発など希少疾病医薬品として指定された（前ページ等　③−2参照）。
- 「高性能な国産CHO細胞株の樹立と連続培養の成功」、「中分子化合物ライブラリー構築」などの創薬基盤技術を開発するとともに、臨床研究・治験の実施支援を通じ、希少疾患治療薬を含めた革新的医薬品開発を支援した（前ページ　等　②−1、②−2、②−4参照）。
- その他、創薬基盤整備、研究開発支援を通じ、令和元年度単年度で63件の導出（うち、シーズ15件・技術48件）を達成した。

見込評価

- 「抗体の連続生産技術」「ペプチドのマイクロフロー合成法」「抗体医薬品の高機能化技術」などの創薬基盤技術を開発するとともに、「デュシェンヌ型筋ジストロフィーを対象とした国産初の核酸医薬品」の開発など、革新的医薬品及び希少疾患治療薬等の開発を支援した（前ページ等　②−2、②−3、②−4、②−6参照）。
- このような取り組みを通じ、これまでに新たな創薬ターゲットとして33件を同定、225件の導出（うち、シーズ56件・技術169件）を達成し、KPIの最終目標を大幅に上回る成果を得た（前ページ成果目標達成状況参照）。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクト の実施
①医薬品創出

評価軸

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

令和元年度評価

・ 創薬支援ネットワークについては、DISCライブラリーの多様なモダリティへの対応、特区内の臨床中核拠点病院との連携などのシーズ収集強化、導出支援などによる積極的な支援の実施により、令和元年度単年度で相談・シーズ評価283件、有望シーズへの創薬支援25件、企業導出3件を達成するなど、革新的新薬の創出を目指した強力な支援を行った(前ページ等　③-2、成果目標達成状況参照)。

見込評価

・ 創薬支援ネットワークにおいては、同ネットワークの安定的な運営と導出成果、製薬企業各社が有する各種アセットを集約したDISC/創薬インフォマシステムを構築、活用した。また、連携三独法(理研・基盤研・産総研)が有する技術に加え、多様なモダリティへの対応、シーズ収集強化、導出支援など様々な創薬支援を可能とするエコシステム(ユニット)を構築・運用した(前ページ等　①-1、③-2参照)。
・ このことにより、「オールジャパンでの医薬品創出プロジェクト」開始以降これまでの間で相談・シーズ評価1,659件、有望シーズへの創薬支援142件、企業導 出9件を達成するなど、革新的新薬の創出を目指した強力な支援を行った(前ページ等　成果目　標達成状況参照)。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
②医療機器開発

令和元年度評価

評定（自己評価）	
A	全体的な取組としては、医療機器開発の**重点分野別**に対応すべき**課題と課題解決に向けた方向性を公開し**、令和元年度事業の公募等に反映するとともに、さらなる検討を行った。①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3年連続で**日本医療研究開発大賞AMED理事長賞**を受賞するほか、「先進的医療機器・システム等技術開発事業」において14件の先端機器開発を開始した。「8K等高精細映像データ利活用研究事業」で、**大腸内視鏡画像中の病変の有無を推測する人工知能（AI）に基づくソフトウェアがクラスⅡとして承認を得た**他、「医療機器開発推進事業」では医師主導治験を行うなど、**基礎・応用・実用化研究それぞれで成果を上げた**。また、「ロボット介護事業」では、**開発補助のみならず、効果測定、評価手法・環境の開発・整備**を実施した。②医療機器市場獲得、海外展開に向けた企業支援としては、「医療機器開発支援ネットワーク」で**伴走コンサルを135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35件の課題を推進して**ものづくり技術を有する中堅・中小企業、ベンチャー企業を支援**した。「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。③医療機器開発のマネジメントの改善については、医療機器開発の**マネジメントチェック項目を活用し**普及に努めた。④医療機器開発人材育成についても、14の**医療機関で企業人材の育成**を実施した。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。

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

H30年度に「医療機器開発の重点化に関する検討委員会」で医療上の価値、我が国の競争ポテンシャル等の視点で重点分野を設定。令和元年度は重点分野に沿った支援課題の設定・運用を事業の特性に応じて進めるとともに高齢化分野の「医療上対応すべき課題」の深掘り検討を実施。

①革新的医療機器の開発支援と普及

(1) 先端計測分析技術・機器開発プログラムにおいて9件の革新的医療機器のシーズを採択。また、実施中の課題「令和元年度：針なし気泡注射器を用いた低侵襲網膜血栓除去新技術の開発」が、日本医療研究開発大賞AMED理事長賞を受賞。
(2) 先進的医療機器事業では、医療機器開発の重点分野を意識した14件の応用フェーズの先端医療機器開発課題を採択、研究開始。
(3) 8K等高精細映像データ利活用研究事業で、平成29年度に開始した課題の成果として、大腸内視鏡画像中の病変の有無を推測する人工知能（AI）に基づくソフトウェアがクラスⅡとして承認を得た他、医療機器開発推進事業で、2件の革新的医療機器の医師主導治験を開始。
(4) ロボット介護機器開発事業において、13件の開発補助を行う他、ロボット介護機器の効果測定、評価手法・環境の開発・整備を実施した。

②医療機器市場獲得、海外展開に向けた企業支援

(1) 文科省、厚労省、経産省、各地支援機関の連携による「医療機器開発支援ネットワーク」を通じて、伴走コンサルを135件(R1)実施。開発初期段階から事業化にむけ幅広く支援。更に製品評価サービスを提供した。
(2) 医工連携事業化推進事業において、31件（新規採択含む）の課題を推進し、高度なものづくり技術を有する中堅・中小企業を支援。また、医療機器ベンチャー支援事業として採択された4件に対しては個別対面指導を密に実施し、ベンチャーキャピタルからの投資等につなげた。
(3) 途上国/新興国医療技術実用化事業において、日本企業の現地ニーズに応じた機器開発を5件支援。

③医療機器開発マネジメントの改善

医療機器開発の研究開発マネジメントチェック項目（平成30年11月策定）について令和元年度の公募より適用開始。

④医療機器開発人材育成

医療機器開発を目指す企業人材を臨床現場に受け入れるための体制構築を実施。本年度は次世代医療機器連携拠点整備等事業として新たに14の医療機関を採択し、医療ニーズ発見及び研修プログラムや拠点間連携を通じて、医療機器開発の人材育成としての拠点整備を開始。臨床現場等見学者数は約1,300人。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
②医療機器開発

期間実績評価

評定（自己評価）
B

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**し、公開した。①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74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。②「医療機器開発支援ネットワーク」で伴走コンサルを776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。③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、**のべ25医療機関で企業人材の育成**を実施した。以上より、「研究開発成果の最大化」に向けて成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められる。

	H27	H28	H29	H30	R1	見込	期間
自己評価	B	A	B	B	A	B	B
主務大臣評価	B	B	B	B		B	

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

「医療機器開発のあり方に関する検討委員会」及び「医療機器開発の重点化に関する検討委員会」を設置し、医療機器開発のあり方の検討や医療機器開発の重点分野を設定を実施。重点分野別に将来あるべき姿の実現に向けて医療上の課題と、解決に向けた方向性を整理、研究計画に活用。

①革新的医療機器の開発支援と普及

(1) 先端計測分析技術・機器開発プログラムにおいて74件の革新的医療機器のシーズを推進。日本医療研究開発大賞AMED理事長賞を3件受賞
(2) 未来医療/「スマート治療室」プロジェクトにおいて、「スマート治療室」の標準モデル、ハイパーモデルそれぞれで、臨床研究を開始。普及と展開に向けた活動を加速。「メディカル・デジタル・テストベッド」プロジェクトにおいて、医師の暗黙知をデジタルデータ化/数値化し、解析できるプラットフォームを構築し、熟練者の手技の評価に成功。
(3) 医療機器開発推進事業において、革新的医療機器の医師主導治験を4件実施した。
(4) ロボット介護機器開発事業において、46件の開発補助を行う他、安全性・効果・性能に関する基準・試験方法をハンドブック等を作成して公開するとともに、ロボット介護機器の効果測定、評価手法・環境の開発・整備を実施した。

②医療機器市場獲得、海外展開に向けた企業支援

(1) 「医療機器開発支援ネットワーク」を通じて、伴走コンサルを776件(R1まで）実施。開発初期段階から事業化にむけ幅広く支援。製品評価サービスを提供。
(2) 医工連携事業化推進事業において、累計167件の課題を推進し、高度なものづくり技術を有する中堅・中小企業を支援。
(3) 途上国/新興国医療技術実用化事業において、日本企業の現地ニーズに応じた機器開発を7件支援。

③臨床ニーズへの対応

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

④医療機器開発人材育成

医療機器開発を目指す企業人材を臨床現場に受け入れるための体制構築を全国のべ25医療機関で実施。臨床現場等見学者数はのべ約5,400人。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

②医療機器開発

令和元年度評価 | 期間実績評価

オールジャパンの医療機器開発分野における全般的な取組

AMEDでは、医療機器開発支援のあり方を検討するため、「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、H31年3月に報告書を取りまとめた。

目的

①戦略性をもったリソースの重点化／ポートフォリオ運用を実現する。
②課題オリエンテッドな研究開発強化のため、重点分野毎に「対応すべき課題」や「解決の方向性」を整理・提示する。

＜重点分野検討の視点＞
・高齢化が進む中で影響の大きい主要5疾患を中心に、3つの視点で検討
・技術シーズにとらわれず、課題志向/ニーズ志向で検討する

医療の価値（対応すべき課題） × わが国の競争力ポテンシャル × AMED支援の必要性の高い領域

医療機器開発の重点分野の設定

①検査・診断の一層の早期化、簡易化	WG1
②アウトカム最大化を図る診断・治療の一体化	WG2
③予防（高血圧、糖尿病等）	WG3
④高齢化により衰える機能の補完・QOL向上	WG4
⑤デジタル化/データ利用による診断・治療の高度化	WG5

「対応すべき課題」と「解決の方向性」の検討・整理

重点分野毎に、将来のあるべき姿を検討。実現に向けての対応すべき課題と、課題解決に向けた方向性を整理した。
（対応すべき課題の具体例）
〇がんなどの無症候性疾患を早期発見する一次スクリーニングシステムの開発
〇手術の簡易化、均てん化、効率化、医療経済性を向上するための治療システムの開発
（AI、ロボティクス等を用いた医師の暗黙知の形式知化）
その他

令和元年度の取組

〇令和元年度公募では、上記「重点分野」に沿った支援課題のポートフォリオ設定・運用を、事業特性に応じて進めた。（例：「先進医療機器・システム等技術開発事業」では、重点分野別に課題を設定して公募した）
〇上記「重点分野」のうち、「④高齢化により衰える機能の補完・QOL向上」では、「対応すべき課題」についてWGを開催して深掘りの検討を実施。

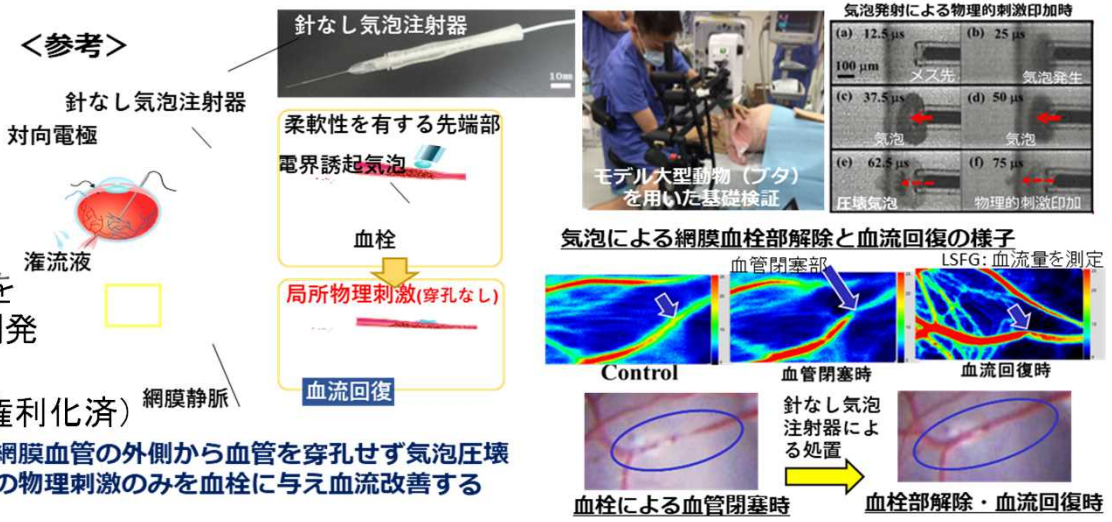
Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
②医療機器開発

令和元年度評価

①革新的医療機器の開発支援と普及
(1)先端計測分析技術・機器開発プログラム

網膜静脈分枝閉塞症に対して、網膜静脈血栓部へ電界誘起気泡による低侵襲物理的刺激を血管（血栓）へ与えることにより血流を回復・改善させる技術を開発しており、対症療法ではなく、根本的に病態を解決する新手法として期待される。

- 毛細管内の微小な空間内に電界を集中させ、液中に指向性を有する高速気泡列が発射される現象を発見し、この現象を利用して「針なし気泡注射器」を実現した。
- モデル大型動物（ブタ）を用いた基礎検証により、本技術は電界誘起気泡の血栓分解による血流回復に有効な方法であることを示す成果が得られた。
- これまで輸入抗VEGF薬による対症療法しかなかったため、年間約500億円(薬価)もの医療費が支払われてきた。このような現状を打破すべく、網膜静脈血栓の根治療法を目指す医療機器研究開発を行っている。
- 日本、米国、欧州等に基本技術等を4ファミリー出願中（一部は権利化済）
- 第3回日本医療研究開発大賞　AMED理事長賞受賞課題



(2)先進的医療機器・システム等技術開発事業

令和元年度より医療機器開発の重点分野に係る医療機器・システム等の事業化に向けた開発（14件）を開始

例）アウトカム最大化をはかる診断と治療の一体化

「超低侵襲リアルタイムアダプティブ（RA）放射線治療」開発開始

腫瘍形状の変化に対応したリアルタイムで低侵襲な治療最適化のため、診断技術と放射線治療装置及び治療計画装置を融合し、低コスト・小型粒子線治療システムを開発する。

低侵襲リアルタイム診断
低侵襲マルチモダリティ診断
AIによる位置予測精度向上

リアルタイムアダプティブ治療
腫瘍追随型治療
リアルタイム腫瘍情報追随
毎日の腫瘍追随型治療
リアルタイム最適再計画
日々の患者情報変化対応
最適化プランを提供

小型・低コスト粒子線治療プラットフォーム
医療機関・医療従事者の負担軽減
国内医療産業の競争力強化



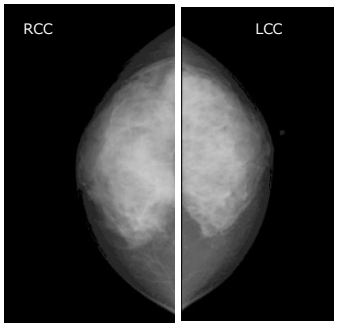
Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
②医療機器開発

期間実績評価

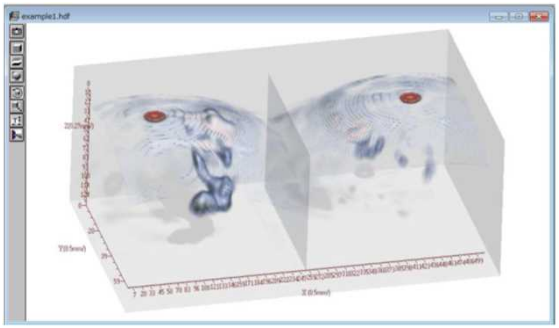
①革新的医療機器の開発支援と普及
(1)先端計測分析技術・機器開発プログラム

現行技術のX線マンモ画像や超音波では発見が困難であった高濃度乳房の乳癌を画像化することに成功。これにより、乳癌のより正確な診断が可能に。乳癌検診の被検者負担の軽減により早期発見と医療経済効果が期待される。

- 世界で初めて波動散乱の逆問題を解析的に解くことに成功し、癌組織と正常組織のマイクロ波の反射の違いを利用したマイクロ波散乱場断層イメージングシステムを実現、プロトタイプ機を開発。
- 約350人の臨床試験を実施し、高濃度乳房等において現行技術を凌駕する本技術の有効性を実証。
- 日本、米国、欧州6か国で基本特許が成立
- 第1回日本医療研究開発大賞　AMED理事長賞受賞課題
- 被験者へ物理的負荷が少なく、現状約40%の乳がん検診の受診率向上（90%を目標）と早期発見・治療による医療費削減効果　（手術・医薬品費用）が期待される。



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



本技術：がん組織を立体的に可視化（同じ患者での比較）

(2)未来医療

14プロジェクト、34テーマを推進し、スマート治療室の臨床研究開始など実用化に向けた開発に成功。

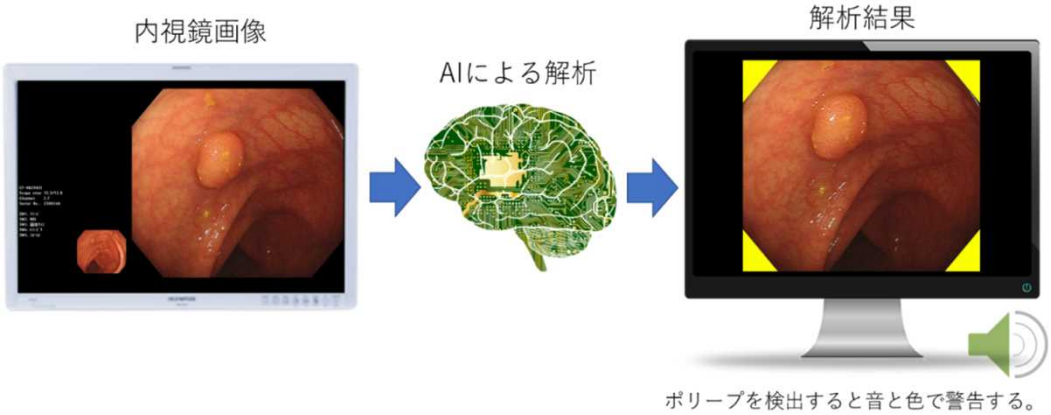
- 日本が強みを有するロボット技術、ICT等を応用し、日本発の革新的医療機器・システムの開発及び実用化を推進し、スマート治療室や認知症の早期診断が可能となるMRIなど新規な医療機器の開発に成功した。
- 「医療機器開発の重点分野」も踏まえて、我が国における高齢化の進展や、新興国における医療需要の増大などに対応した、戦略的な医療機器開発を着実に実施。
- また、こうした先進的な医療機器等の開発指針となる開発ガイドラインの策定も実施。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
②医療機器開発

令和元年度評価

①革新的医療機器の開発支援と普及
(3) 8K等高精細映像データ利活用研究事業／医療機器開発推進事業

- 昭和大学横浜市北部病院消化器センターの工藤進英教授らが開発を進めてきた人工知能（AI）内視鏡画像診断支援ソフトウェア（EndoBRAIN®-EYE）が、臨床性能試験を経て「医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律（医薬品医療機器等法）」に基づき、クラスII・管理医療機器として承認を取得した。本ソフトウェアにより、内視鏡診療レベルの均てん化が可能となる。



- 令和元年度採択課題「視線計測装置及び視線計測装置用診断プログラム（GF01）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」プロジェクトにおいて、医師主導治験を開始した。本プロジェクトの実用化により、定量的かつ客観的なASD診断補助が可能となり、治療成績の向上等が期待される。



Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
②医療機器開発

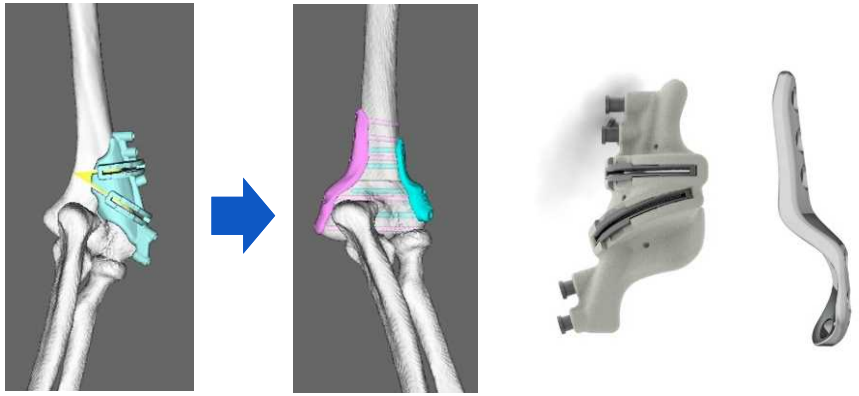
期間実績評価

①革新的医療機器の開発支援と普及

(3)医療機器開発推進事業

- 大阪大学大学院医学研究科の村瀬剛准教授らが開発を進めてきたカスタムメイド手術ガイドが、臨床試験を経て「医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律（医薬品医療機器等法）」に基づき、クラスⅢ・高度管理医療機器として承認を取得した。本ガイドにより、術前シミュレーションによる精度の高い矯正骨切り術が可能となる。

術前シミュレーション



カスタムメイド手術ガイドを用いて骨切（黄色の楔状部分）

変形矯正後にカスタムメイドプレートで内固定を行う

- H30年度採択課題「自家骨採取量の削減を可能にする生体吸収性アドヒーシブゲルの臨床応用」プロジェクトにおける開発機器「リン酸化プルランバイオアドヒーシブ」が先駆け審査指定制度に選定された。本プロジェクトの実用化により、歯槽骨・顎骨欠損に対する低侵襲な自家骨移植治療が可能となり、治療成績の向上等が期待される。



	リン酸化プルラン	コラーゲン	ヒアルロン酸	アルギン酸	ポリグリコール酸	ポリ乳酸
生体親和性	○	○	○	○	溶解時に酸性になるため炎症を惹起	炎症惹起（ポリグリコール酸より軽度）
接着性・粘着性	○	×	湿性組織に付着	湿性組織に付着	××	××
ガンマ線滅菌	○	×	×	×	×	×
製造法	プルラン（黒酵母産生）を加工処理	ウシ，ブタ，サカナ由来（動物由来）	鶏のトサカから抽出（動物由来）	昆布から抽出（植物由来）	合成	合成

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

②医療機器開発　②医療機器市場獲得、海外展開に向けた企業支援

令和元年度評価　期間実績評価

(1)医療機器開発支援ネットワーク

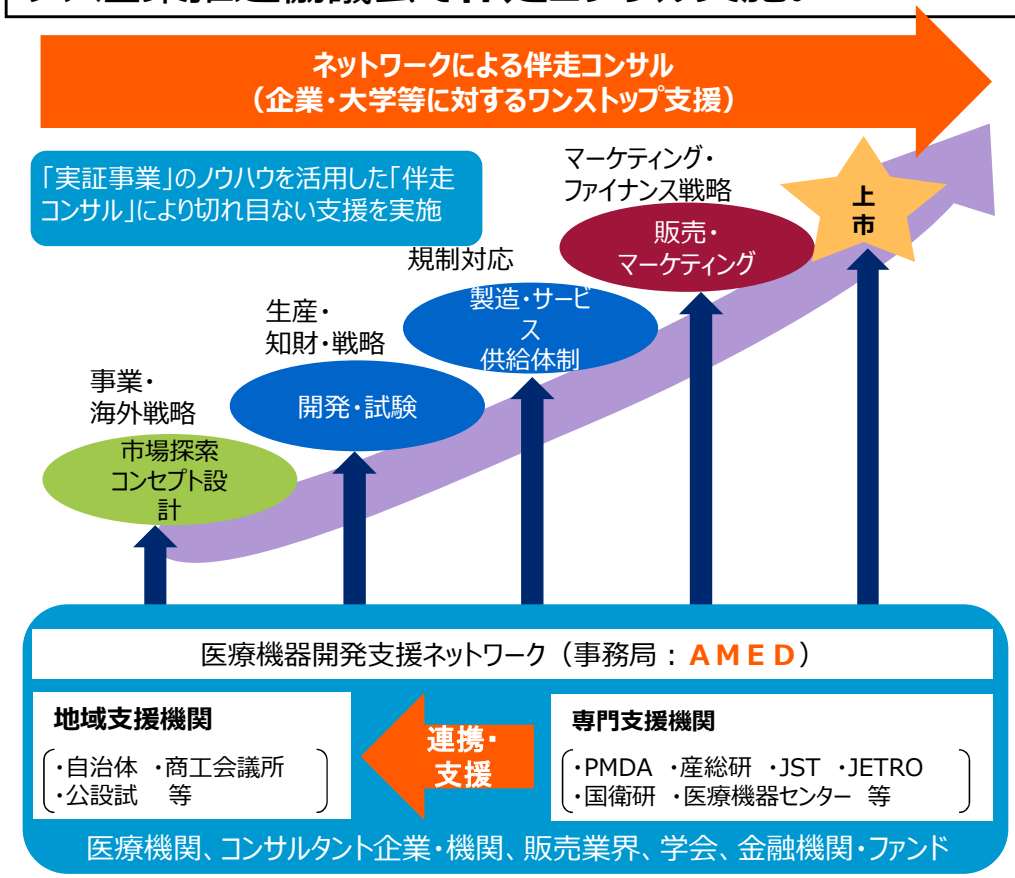
・平成26年10月に、**「医療機器開発支援ネットワーク」**を立ち上げ。　(令和2年2月27日時点)

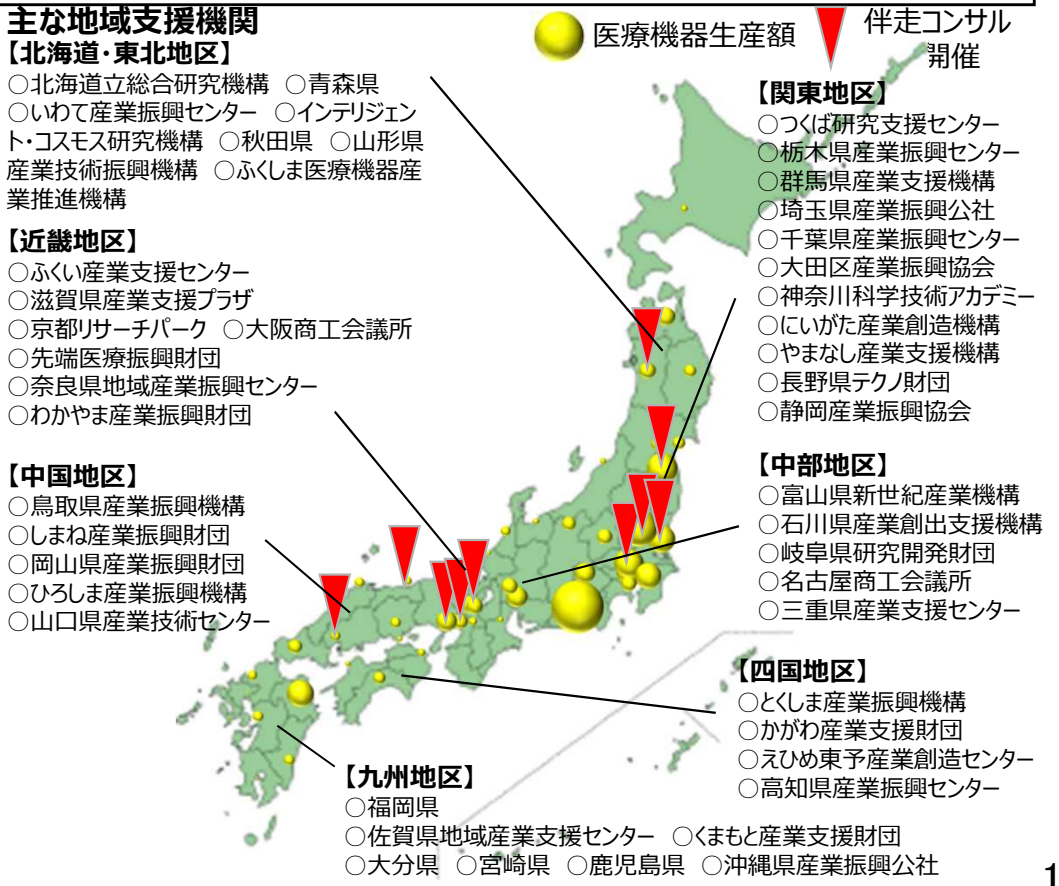
・**AMEDを事務局として**、事務局サポート機関と**76の地域支援機関**に**「ワンストップ窓口」**を設置。

・**相談件数はのべ1,690件(うち令和元年度は150件）**に達し、このうち、**伴走コンサルはのべ776件（うち令和元年度は135件）**。

・**異業種**（電機電子・自動車部品・素材・化学・光学・製薬等）**から相談も増。**

・**地域連携拠点強化事業**として、ふくしま医療機器産業推進機構、浜松医大、大阪商工会議所、九州ヘルスケア産業推進協議会で**伴走コンサル実施。**





Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
②医療機器開発

令和元年度評価

②医療機器市場獲得、海外展開に向けた企業支援
(2)医工連携事業化推進事業

眼疾患を多角的に把握する次世代偏光感受型OCTの開発・事業化

代表機関　製造販売業者
トーメーコーポレーション株式会社

令和元年10月国内薬事申請（クラスⅡ）
令和2年10月国内上市



安全なマイクロサージェリーを提供する小型3Dビデオ蛍光顕微鏡の事業化・海外展開

代表機関　製造販売業者
三鷹光器株式会社

令和元年3月国内薬事申請（クラスⅠ）
令和2年4月国内上市
令和2年4月米国510K申請
令和2年後半米国上市



Copyright 2019 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
②医療機器開発

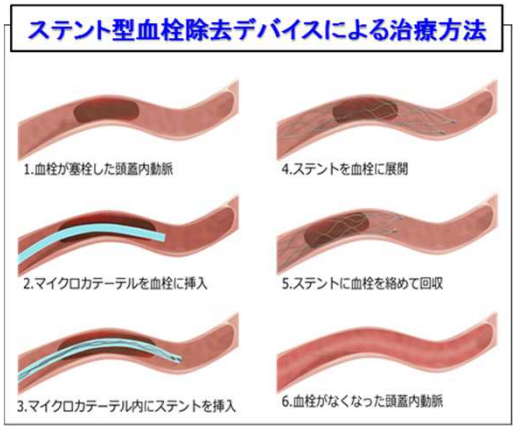
期間実績評価

②医療機器市場獲得、海外展開に向けた企業支援
(2)医工連携事業化推進事業

血栓除去デバイス

販売名　Tron FX®
開発　株式会社Biomedical Solutions
製造販売業者　株式会社JIMRO
販売　テルモ株式会社
2018年12月承認　販売





抗菌性粘膜調整材

販売名　ティッシュコンデショナー
CPC
製造販売業者
メディカルクラフトン株式会社
2018年10月承認　販売



- H27年度採択課題「世界初の人工気管の製品化事業」第一医科株式会社
  医師主導治験を終了。
  本プロジェクトの実用化により、国産利用機器市場の拡大が期待される。



- H28年度採択課題「金属製骨折治療デバイスの課題克服を目指した次世代新素材骨折治療デバイスの開発・事業化」株式会社ビー・アイ・テック
  医師主導治験を実施、PMDAに製造販売申請中で令和2年度の上市予定。
  本プロジェクトの実用化により、国産利用機器市場の拡大が期待される。



Copyright 2019 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
②医療機器開発

②医療機器市場獲得、海外展開に向けた企業支援
(3)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

令和元年度評価

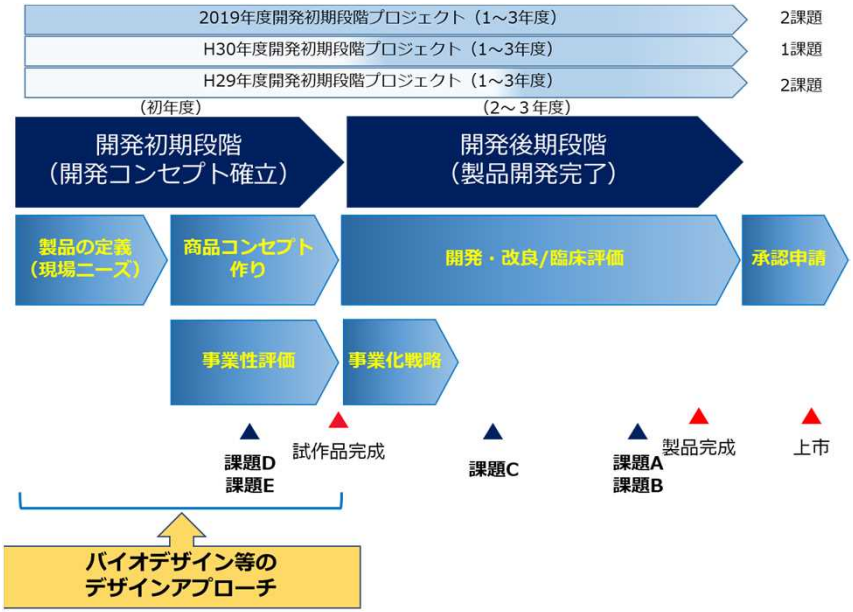
令和元年度実績

- 令和元年度採択の2課題について、現地（タイ）のKOL、現地政府関係者、日本大使館とキックオフミーティングを実施し現地海外展開に向けた理解促進を図った。
- 最終年度（3年目）2課題については、それぞれ現地（ベトナム、インドネシア）のKOL、日本大使館、JICA、JETROと成果報告、意見交換を実施した。
- 周辺国への展開を図るべくマレーシア保健省に事業紹介、成果紹介と意見交換を実施した。
- 途上国等での医療機器開発目指す企業を対象にしたデザインアプローチを体験するセミナーと事業説明会を東京（11/20）、大阪（11/28）にて開催した。

タイを対象とした2件を採択した。タイの病院及びコミュニティクリニック等において現地調査を実施し、医療ニーズを発掘した。

- 課題D：22施設・40名のインタビュー・12日間
- 課題E： 6施設・17名のインタビュー・11日間

デザインアプローチを用いて、発掘したニーズから医療機器等の開発を開始した。継続3課題は、現地での承認等の取得を経て、市場の獲得を目指し開発中。



Copyright 2019 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
②医療機器開発

令和元年度評価 | 期間実績評価

①革新的医療機器の開発支援と普及

(4)ロボット介護機器開発・標準化事業/ロボット介護機器開発・導入促進事業

ロボット介護機器開発補助支援

- 高齢者の自立支援と介護者の負担軽減に資する機器の開発を促進するため、経産省と厚労省で定めた「ロボット技術の介護利用における重点分野」に対して、開発を支援。
- 平成27年度から令和元年度に67件(内令和元年年度は13件)に対し開発補助を行い、これまで20製品が市場投入された。(平成25,26年度の経産省直執行分を含む)







開発された製品の例

介護現場への導入に必要な基準作成・標準化等の環境整備

- 現場で役に立つロボットを開発するための開発手法や安全性・効果・性能に関する基準・試験方法を開発し、「ロボット介護機器開発ガイドブック」、「ロボット介護機器開発のための安全ハンドブック」等を作成して公開した。また、策定した基準類は国際標準化への手続きを進めている。令和元年度は平成29年度に追加された重点分野に対して取り組んでいる。
- 平成28年度にコミュニケーションロボットの大規模実証試験を実施。有効性を確認すると共に介護現場で用いるにあたっての必要な要素を明らかにし、翌年度に重点分野に追加された。

ロボット介護機器の効果測定・評価

- ロボット介護機器の導入による客観的・定量的評価の実現に向けて、高齢者の自立支援、介護者の負担軽減、介護の効率化等の観点から有効な評価項目の洗い出し及び評価手法・環境の開発・整備を実施中。

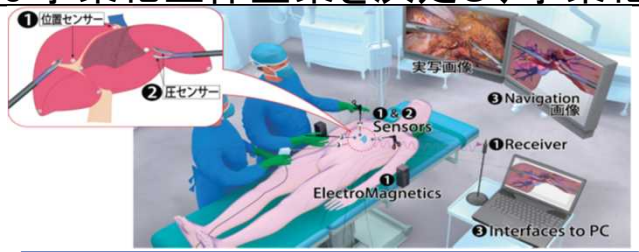
Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
②医療機器開発

期間実績評価

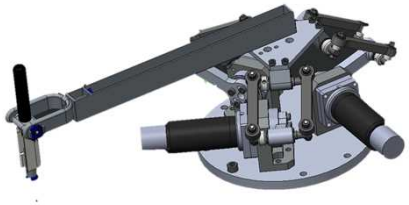
③臨床ニーズへの対応

1)術者の技能に依存しない高度かつ精密な手術システムの開発

腹腔鏡下肝切除術支援ナビゲーションシステム、微細手術を再現する超精密手術システムの開発、顕微鏡下手術支援ロボットシステムの開発、眼内内視鏡保持ロボット開発の4課題においてプロトタイプによる検証を実施。3課題については事業化主体企業を決定し、事業化に向けた開発を開始。



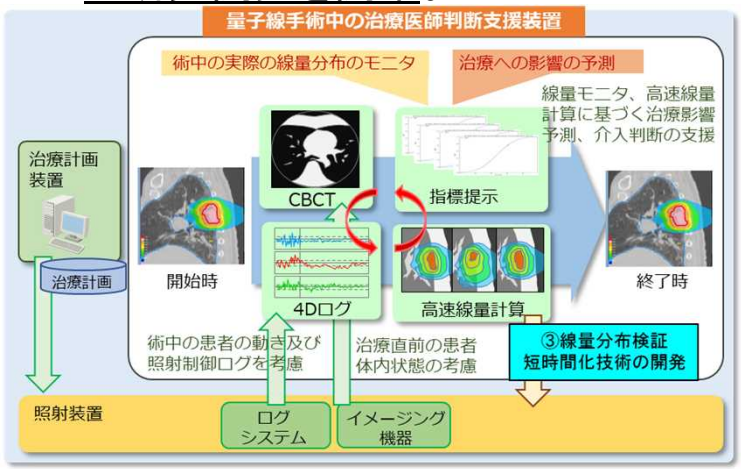
腹腔鏡下肝切除術支援ナビゲーションシステム

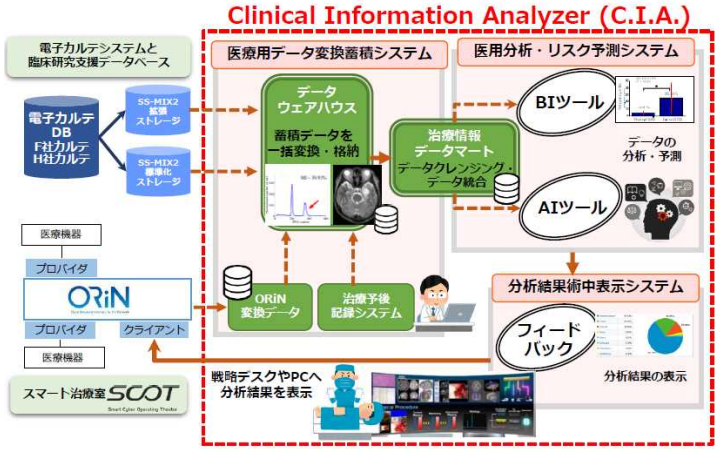


眼内内視鏡保持ロボット

2)術中の迅速な判断・決定を支援するための診断支援機器・システム開発

量子線手術における治療術中の迅速な判断・決定を支援するための診断支援機器・システム開発、AI Surgery実現のための基盤となる臨床情報解析装置(C.I.A.)の開発、術中の呼吸異常評価のための呼吸音モニタリングシステムの開発、術前と術中をつなぐスマート手術ガイドソフトウエアの開発、小型組織オキシメーター温度センサーの開発の5課題のプロトタイプによる検証を実施。全ての課題について事業化企業を決定し、事業化に向けた研究開発を開始。







小型組織オキシメーター温度センサー

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

②医療機器開発

④医療機器開発人材育成

期間実績評価

「国産医療機器創出促進基盤整備等事業（11機関）（H26-30）」及び

「次世代医療機器連携拠点整備等事業（14機関）(R1-)」における医療機器開発人材育成

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

- 講習数（延べ）：約1,150講義（R1年度は約150講義）
- 参加人数（延べ）：約6,400人（R1年度は約2,400人）
- 臨床現場等見学者数（延べ）：約5,400人（R1年度は約1,300人）
- 医療機関及び企業との連携数（延べ）：約1,360件（R1年度は約360件）

◆ 現場見学の取組



◆ 専門家による講義



- 九州大学、大分大学、浜松医科大学、東京女子医科大学、東北大学、信州大学、神戸大学、大阪大学の8機関において、ものづくり工房の整備・活用の取組を実施した。【国産医療機器事業】





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



Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
②医療機器開発
④医療機器開発人材育成

令和元年度評価

「次世代医療機器連携拠点整備等事業」における医療機器開発人材育成

令和元年度より開始した次世代医療機器連携拠点整備等事業において、新たに採択された14の医療機関にて医療機器開発の人材育成の拠点整備の事業を開始した。

- 講習数（延べ）：約150講義
- 参加人数（延べ）：約2,400人
- 臨床現場等見学者数（延べ）：約1,300人
- 医療機関及び企業との連携数（延べ）：約360件

主要な取組

臨床現場研修
臨床現場に企業人材を受け入れ、見学や臨床医との対話等を通じ医療ニーズを発見する

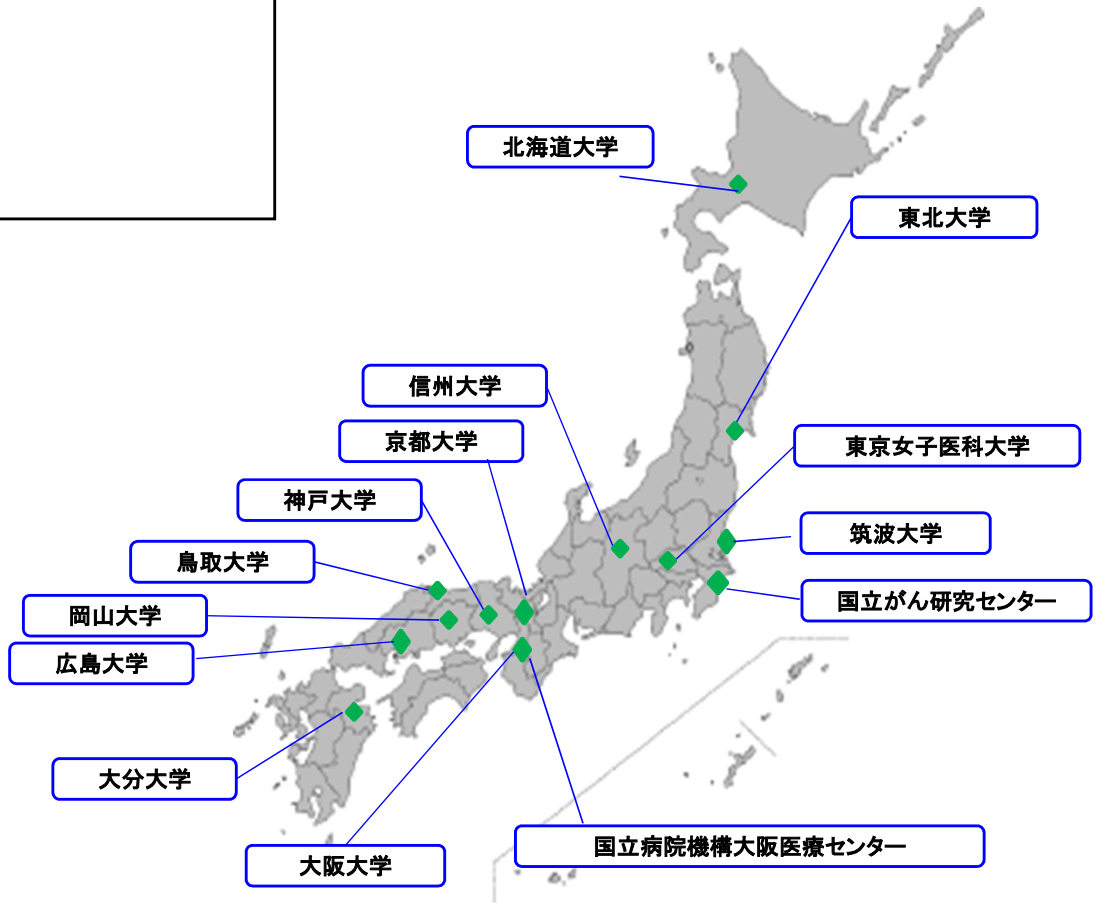
座学・講義
企業に対して、医療機器開発や上記臨床現場研修にあたり必要な知識習得のための研修を実施する

医療ニーズの収集・検討
収集した医療ニーズをブラッシュアップし、市場性及び競争力を有する製品開発プランにつなげる

医療機器開発相談
医療機器開発に関する技術相談、申請等に関する相談窓口を設置し、相談を受け付ける

交流セミナー
シンポジウムやセミナー等を開催し、企業と医療機関等の交流を促進する

拠点外連携
自医療機関以外の医療機関との連携をはかり、事業の成果達成を促進する



Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
②医療機器開発

令和元年度評価 | 期間実績評価

＜成果目標達成状況＞

KPI【2020年までの達成状況】	①令和2年3月迄の累積達成状況	②①のうち、令和元年度の達成状況
・5種類以上の革新的医療機器の実用化	「未来医療を実現する医療機器・システム研究開発事業」の成果として、1件が欧州CEマークを取得。また、4件が製品開発フェーズを完了し、これらの実用化が見込まれる。また、「医療機器開発推進研究事業」において、令和元年度までに13件の医師主導治験を開始したことなどにより、実用化が見込まれる。	「未来医療を実現する医療機器・システム研究開発事業」の成果として、令和元年度に1件が欧州CEマークを取得、4件については製品開発が完了した。「医療機器開発推進研究事業」においては令和元年度に4件の医師主導治験が開始となった。
・医工連携による医療機器開発件数 100 件	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382件に達した。特に医工連携事業化推進事業においては、令和元年度以前の終了案件153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65製品、海外14製品の計79製品。このうち、令和2年3月末までに国内45製品、海外12製品の計57製品が上市見込み。 ※令和元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	令和元年度に支援を開始した医工連携による医療機器開発課題数は39件。
・医療機器の実用化による成果約1,500 億円	医工連携事業化推進事業において、令和元年度以前の終了案件153件について、平成31年3月末時点での累積売上高は71.1億円。 ※令和元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	医工連携事業化推進事業において、令和元年度以前の終了案件153件について、令和元年度の売上高見込みは10.0億円。 ※令和元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

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
②医療機器開発

令和元年度評価　期間実績評価

評価軸	医工連携による医療機器開発を促進したか。

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382件に達した。「医工連携事業化推進事業」では153件（R1年度は31件）の課題を推進し、高度なものづくり技術を有する中堅・中小企業を支援した。

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

○医工連携並びに産学連携のハブとして機能を整備

「医療機器開発支援ネットワーク」への相談件数は、のべ1,690件（うち、R1年度は150件）、うち伴走コンサル件数はのべ776件（うち、R1年度は135件）にのぼった。開発初期段階から事業化に向け、幅広く支援した。

同ネットワークにおいては、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。

同ネットワークのポータルサイト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」を運営した。アイデアボックスで収集した311件（R1年度は70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、165件（R1年度は13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。

同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。企業から32件の相談（R1年度は9件）を受け、15件の試行を含めると34件（R1年度は3件）の評価を実施した。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
②医療機器開発

令和元年度評価　期間実績評価

評価軸	我が国の高い技術力を生かし、医療機器の開発・事業化を加速したか。

〇革新的医療機器の開発支援と普及

(1) 先端計測分析技術・機器開発プログラムにおいて74件（R1年度は9件）の革新的医療機器のシーズを採択。また、日本医療研究開発大賞AMED理事長賞を3件受賞（「H29年度：次世代乳がん画像診断機器の開発」、「H30年度：心筋梗塞時の迷走神経刺激カテーテル装置の開発」及び「R1年度：針なし気泡注射器を用いた低侵襲網膜血栓除去新技術の研究開発」）。

(2) 未来医療/「スマート治療室」プロジェクトにおいて、「スマート治療室」の標準モデル、ハイパーモデルそれぞれで、臨床研究を開始。普及と展開に向けた活動を加速。「メディカル・デジタル・テストベッド」プロジェクトにおいて、医師の暗黙知をデジタルデータ化/数値化し、解析できるプラットフォームを構築し、熟練者の手技の評価に成功。

(3) 医療機器開発推進事業において、革新的医療機器の医師主導治験を13件（R1年度は4件）実施した。また、人工知能（AI）に基づくソフトウェアがクラスII・管理医療機器として承認を取得した。

評価軸	事業化人材・伴走コンサル人材の育成、国際標準化、知財強化を進めたか。

〇医療機器開発人材育成

医療機器開発を目指す企業人材を臨床現場に受け入れるための体制構築を全国のべ25医療機関（R1年度14機関）で実施した。また、医療機器開発を担う企業の技術者、研究者を対象に、ニーズ発見および研修プログラムを実施した。臨床現場等見学者数はのべ約5,400人。

〇事業化人材・伴走コンサル人材育成、知財強化

文科省、厚労省、経産省、各地支援機関の連携による「医療機器開発支援ネットワーク」を通じて、伴走コンサルを776件(R1年度は135件）実施。開発初期段階から事業化にむけ、知財強化を含め幅広く支援。

〇国際標準化革新的医療機器の開発支援と普及

ロボット介護機器開発・標準化事業において、介護現場への導入に必要な基準作成を行い、「ロボット介護機器開発ガイドブック」（H29年度）、「ロボット介護機器開発のための安全ハンドブック」（H29年度）等を作成して公開した。また、策定した基準類は国際標準化への手続きを進めている。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
③革新的医療技術創出拠点

令和元年度評価

評定（自己評価）	
A	①橋渡し研究支援拠点や臨床研究中核病院の一体的な運営を促進するため、PD、PS、POと共にサイトビジットや全体会議を実施し、また、シーズ開発を切れ目なくつなぐ公募設計を行った。②臨中ネットの整備等、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を進めた。さらに、③拠点を中心に、アカデミア発シーズを実用化につなぐ体制を充実させるための人材育成の研修・講習会を開催し、また、支援のあり方を協議する取組を実施した。以上より、「研究開発成果の最大化」に向けて顕著な成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められる。

①橋渡し研究支援拠点や臨床研究中核病院の一体的な運営の促進

PD, PS, POと共に**13**拠点へのサイトビジットや全体会議等を実施し、拠点（外）シーズ支援や支援人材のキャリアパス、人材育成について議論した。

拠点よりシーズAとB、シーズBとCの間で切れてしまう現状が指摘されたことを受け、2019年度公募での試行を経て、令和2年度公募ではpreB（単年度で非臨床パッケージを策定）、preC（単年度で医師主導治験の準備を行う）を新設した。preB71件、シーズB19件、preC14件、シーズC22件の応募があり、preB11件、シーズB6件、preC5件、シーズC5件を採択した。

②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

臨床研究中核病院における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質の担保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行うこととし（通称「臨中ネット」）、各病院が有する医療情報システムの状況の把握、品質管理、標準化手法の検討、ユースケースの検討を行った。

③人材確保・育成を含めた拠点機能の強化・特色化

「医療系ベンチャー育成支援プログラム」では、令和元年10月に中核病院12病院が連携してジャパン・ヘルスケアベンチャー・サミット（JHVS）2019でブース出展した。サミットへの出展や定期的な連絡会を通じて、各病院の優れた取組を窓口担当者間で情報共有、病院間の連携を強化し、中核病院における医療系ベンチャー支援のあり方について協議した。

医薬品・医療機器等の研究開発に資する研究者人材を育成する3つのプログラム（TSMTP, Japan Biodesign, Research Studio）について、令和元年度には各プログラムの分担拠点を増やし、橋渡し10拠点全てがいずれかのプログラムに参画して実施している。Japan Biodesignについては、長期的なスパンで実施、持続することを目指し、令和元年12月に（一社）日本バイオデザイン学会として学会設立した。

橋渡し研究戦略的推進プログラムの実務者WGにおいてプロジェクトマネジメントにおける課題の洗い出しと対応策を議論し、橋渡し拠点が連携して前臨床段階を担当できる初級プロジェクトマネージャー（PM）を育成し、キャリアパスの仕組みを構築するPM育成プログラムを企画立案し、令和2年度より開始する予定。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
③革新的医療技術創出拠点

期間実績評価

評定(自己評価)
A

①橋渡し研究支援拠点や臨床研究中核病院の一体的な運営を促進するため、PD･PS･POと共にサイトビジットや全体会議を実施した。また、②拠点以外の研究機関との連携を促進し、拠点外シーズ支援体制としての連携ネットワークの構築を図り、拠点外シーズ発掘に取り組んだ結果、拠点外シーズ数は急増した。さらに、③拠点を中心に、アカデミア発シーズを実用化につなぐ体制を充実させるための人材育成の研修･講習会の開催、臨床研究倫理審査の効率化･質の均一化効率化を推進する取組を実施した。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。

	H27	H28	H29	H30	R1	見込	期間
自己評価	A	A	A	A	A	A	A
主務大臣評価	A	A	A	A		A	

①橋渡し研究支援拠点や臨床研究中核病院の一体的な運営の促進

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(**5年間で計76回**)等を実施し、ARO機能の体制整備状況や開発マネジメント等について指導助言を行った。革新拠点プロジェクト関連シーズについて、文部科学省所管事業と厚生労働省所管事業の合同公募を**計3回**実施、合同での中間評価を**3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。

②拠点以外の研究機関との連携の強化と拠点保有情報等の確認

拠点以外の研究機関との連携を促進してネットワークの構築を図るとともに、拠点内外の支援シーズ情報並びに支援状況についてサイトビジット等で確認するなどして拠点外シーズ発掘に取り組んだ。その結果、拠点外シーズ数は革新的医療技術創出拠点の合計で、**平成27年度168件、平成28年度225件、平成29年度355件、平成30年度378件、令和元年度506件**と急増し、連携ネットワークが強固になり、拠点以外の研究機関による拠点の活用が促進された。

③人材確保･育成を含めた拠点機能の強化･特色化

③-1　拠点機能の強化･特色化のための専門人材の育成(研修)や確保を行った。臨床研究中核病院等が主催し、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。

③-2　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、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。

④成果目標達成状況(評価指標)

･医師主導治験届出数(目標　2020年:40件)
　令和元年度21件(AMED全体では**44件**)
･First in Human試験(企業治験含む)(目標　2020年: 40件)
　令和元年度30件(AMED全体では**36件**)

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
③革新的医療技術創出拠点

令和元年度評価　期間実績評価

①橋渡し研究支援拠点や臨床研究中核病院の一体的な運営の促進

『**革新的医療技術創出拠点**』では、PD、PS、POと共にサイトビジットや全体会議等を実施し、文部科学省の「**橋渡し研究支援拠点**」と厚生労働省の「**臨床研究中核病院**」を**一体的に運用**することにより、切れ目なく、基礎から実用化、臨床応用までを一貫的に開発支援するプロジェクトとして運用している。



橋渡し研究支援拠点

連携



臨床研究中核病院

シーズA　シーズB　シーズC

日本全体で橋渡し研究を推進する体制をさらに強化・発展させ、日本発の革新的な医薬品・医療機器等をより多く創出することにより、世界一の健康長寿社会の実現に貢献する。

平成29年度　橋渡し研究戦略的推進プログラム
公募要領より抜粋

臨床試験・治験

特定臨床研究に関して以下の能力を有する
- 計画を立案し及び実施する能力
- 共同して特定臨床研究を実施する場合には、主導的な役割を果たす能力
- 他の病院等に対して相談に応じ、必要な情報の提供、助言その他の援助を行う能力
- 研修を行う能力

医療法第4条の3第1項各号から抜粋要約

革新的医療技術創出拠点

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
③革新的医療技術創出拠点

令和元年度評価　期間実績評価

・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を実施（5年間で計76回）

革新的医療技術創出拠点における橋渡し研究支援拠点や臨床研究中核病院の一体的な運用による拠点機能の強化・充実を図るため、PD、PS、PO、所管省庁、AMEDが年１回程度、秋頃に全拠点を訪問して実施している。各拠点から拠点長、研究科長、病院長、各支援部門長を始め数十名が参加し、各部門長よりARO機能の体制整備状況、シーズの開発実績と支援状況、自立化に向けた取組、個別シーズの開発進捗等が報告され、現状を確認するとともに、体制構築やシーズ支援への指導助言や研究開発の現場におけるニーズの聴取、拠点に必要な体制についての議論を行っている。調査票は毎年改訂して使用。拠点整備状況、開発実績、自立化への取組状況、支援シーズ（1拠点あたり約50～200件）の進捗等を確認している。

H27①（H26フォローアップ）	H27②	H28	H29	H30	R1
7拠点	14拠点	14拠点	15拠点	13拠点	13拠点

・全体会議を開催（5年間で計7回）

革新的医療技術創出拠点プロジェクトにおける全ての実施拠点間の連携推進等のために、重要課題の確認・協議、情報共有等を行うことを目的としたもの。
各事業担当者（拠点長）とPD・PS・POとAMEDをメンバーとし、文部科学省、厚生労働省等をオブザーバーとして構成され、自主的なノウハウ集約、各拠点の活動、進捗状況等について情報交換等を行う会議。PDが年度毎に1～2回、非公開で開催している。

【主な議題】
・当該年度の重点方針と主な予定の紹介
・拠点調査会議の調査票や実施内容の説明
・「拠点の自立化について」意見交換
・「成果活用支援」に関する連絡
・知財部・産連部・再生課等のAMED他事業の取組紹介
・文科省、厚労省からの情報提供

年度	開催日	参加者数	拠点数※
H29	H29.7.13	73	15
	H30.3.5	77	15
H30	H30.6.1	74	16
R1	R1.6.13	79	16

※平成30年度から予算事業が終了した拠点もオブザーバー参加

・成果報告会の開催（年1回）

年度	日程	開催テーマ
H27	H28.3.5-6	革新的医療技術をいち早く社会へ
H28	H29.3.2-3	医療イノベーションに向けた創出拠点の確立と今後の展望
H29	H30.3.5-6	革新的アカデミアシーズの実用化と患者・医療現場への貢献
H30	H31.2.27-28	革新的医療技術創出拠点　過去から未来　新たなステージへ
R1	R2.3.5-6	イノベーション創出、その先へ　※新型コロナウイルス感染症の蔓延防止のため開催中止。別途報告集としてまとめる予定。

・市民公開講座（成果報告会と同時開催）

R1	R2.3.6	One Teamで叶える夢の医療　※新型コロナウイルス感染症の蔓延防止のため開催中止











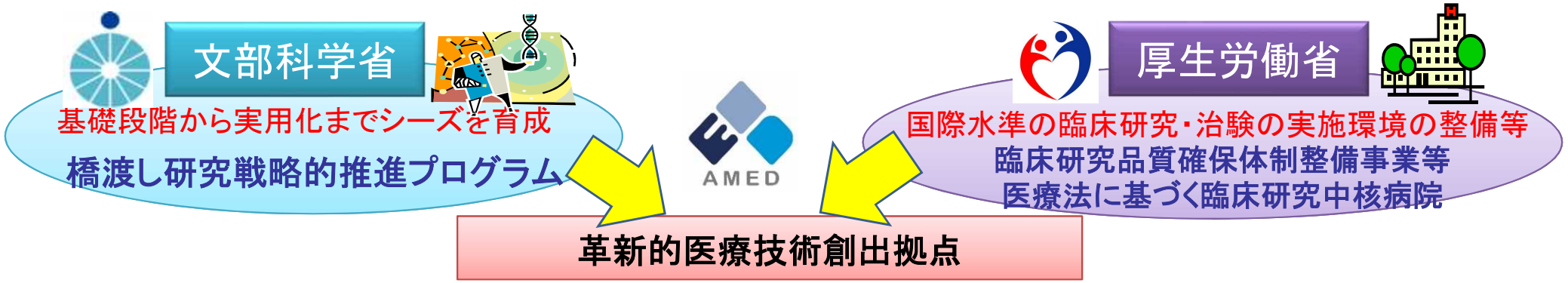
Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
③革新的医療技術創出拠点

令和元年度評価　期間実績評価

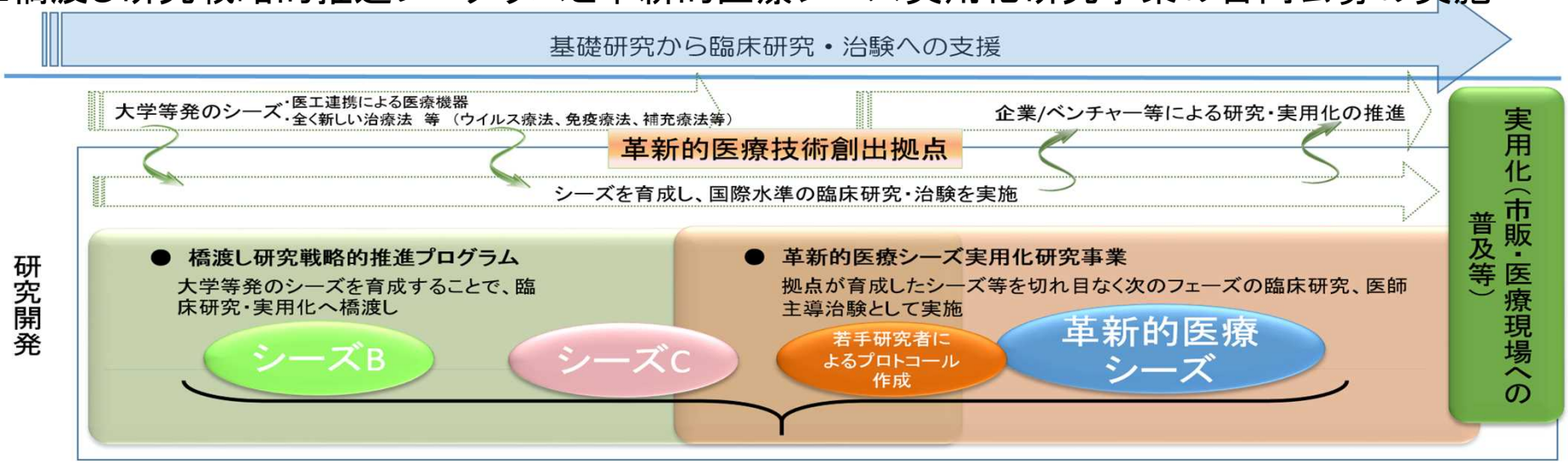
①橋渡し研究支援拠点や臨床研究中核病院の一体的な運営の促進

①-1両省事業の一体的運営による拠点の機能強化及び充実

医療法に基づく臨床研究中核病院も含め、両省事業で相互利用が可能な設備、人材等を合理化、共有化するとともに、シーズへの支援を基礎研究段階から実用化までシームレスに一貫して実施できる体制を構築することにより、効率的な開発を図る



①-2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の合同公募の実施



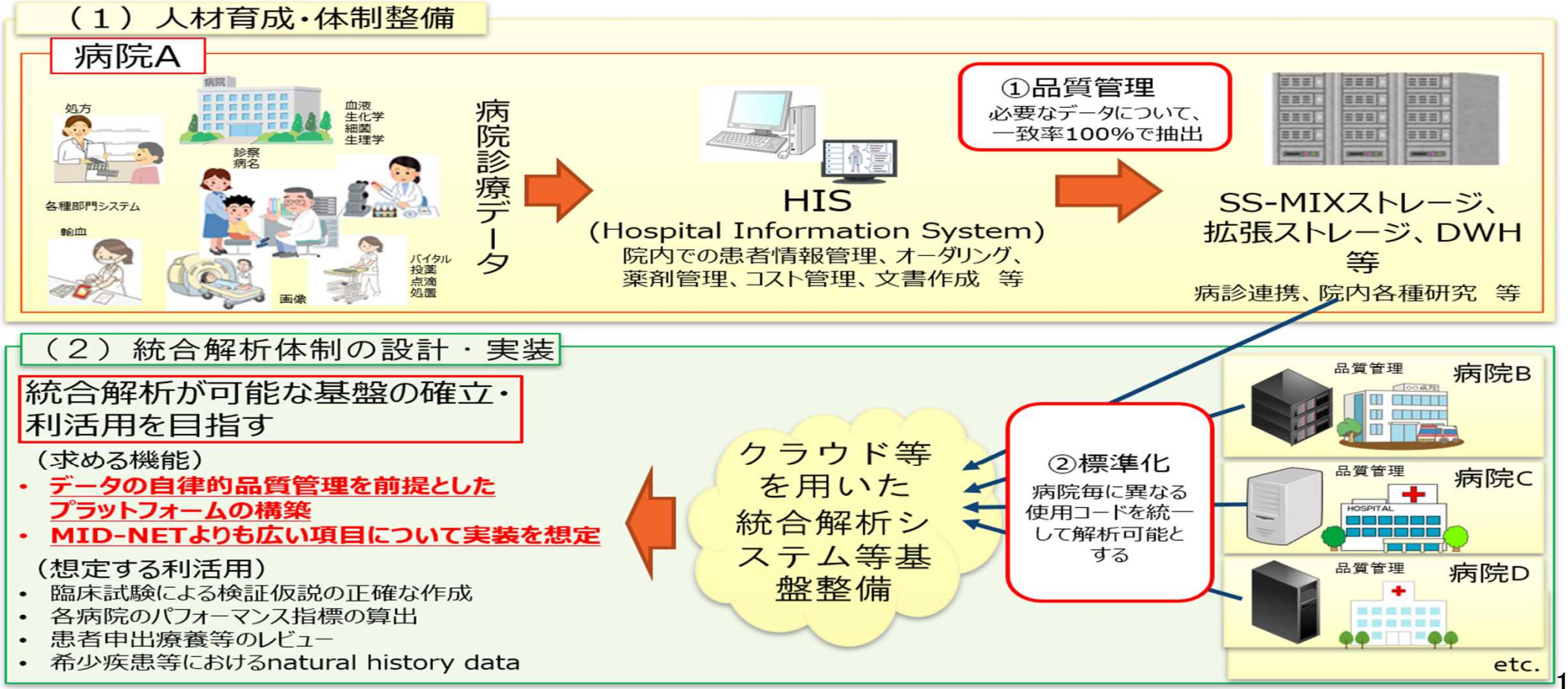
Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
③革新的医療技術創出拠点

令和元年度評価 | 期間実績評価

②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

本事業において構築を目指す仕組みの方向性

本事業では、各病院における診療データを品質管理された手法で抽出した医療情報を収集する仕組みを構築し、それらを用いて統合解析が可能となるような体制を確立することを目指し、必要な人材の育成、臨床研究中核病院における体制整備を行う。このため、品質管理、標準化にかかる人材育成、ネットワーク構築におけるノウハウ等をPMDAに協力を仰ぎ、各病院において自律的に品質管理ができる体制を構築する。



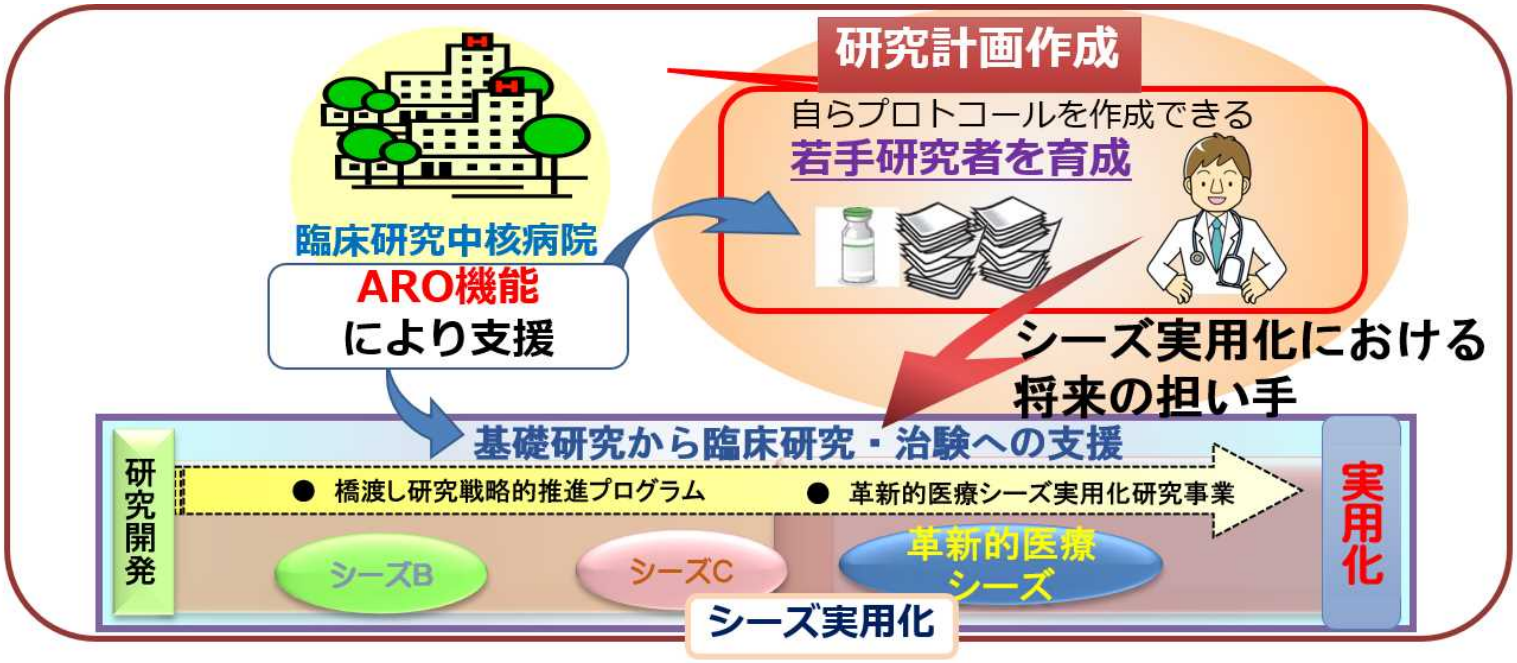
Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
③革新的医療技術創出拠点

令和元年度評価 | 期間実績評価

②拠点以外の研究機関との連携の強化と拠点保有情報等の確認

○革新的医療シーズ実用化研究事業では、若手研究者がARO機能を活用しプロトコールを作成する公募を実施。

○2年間で支援した13課題中7課題（若手研究者が分担研究者の課題を含む。）がAMEDの委託研究事業に採択され、本事業で作成したプロトコールをもとに、実用化を目指した研究開発を進めている。



R2.3.6時点

	分野等、公募研究開発課題名	研究開発費の規模（間接経費を含まず）	採択年度	採択課題数（拠点内/外）	他事業への採択（拠点内/外）
1	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	2,000千円～3,000千円程度 ※	平成30年度	7課題（5/2）	4課題（3/1）
			令和元年度	6課題（4/2）	3課題（2/1）

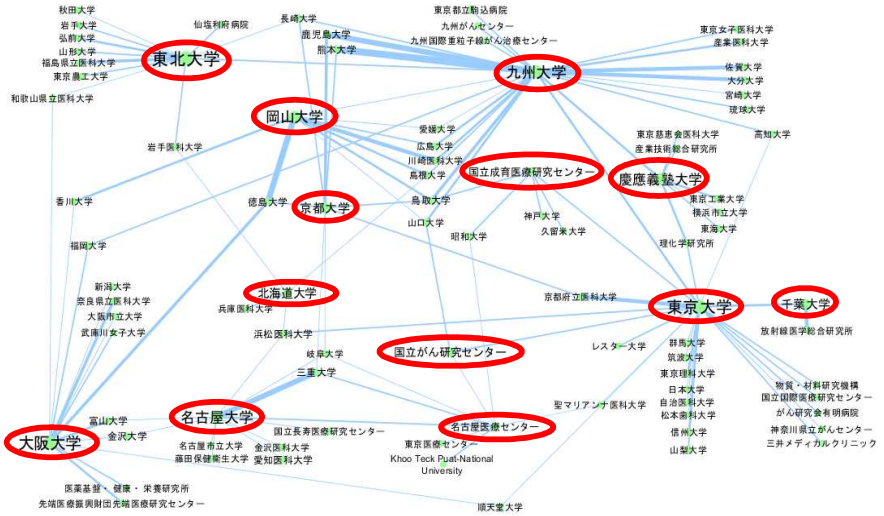
※令和元年度の公募では、研究代表者が所属する機関以外の中核病院に支援を求める場合には研究開発費の上限を400万円とする工夫により、拠点内4課題、拠点外2課題を採択して、拠点外シーズ支援の促進を図った。

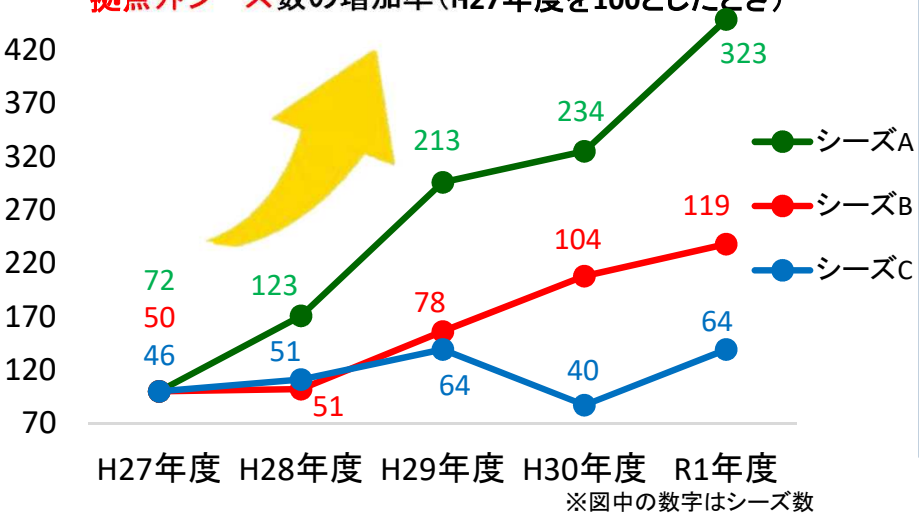
Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
③革新的医療技術創出拠点

令和元年度評価　期間実績評価

②拠点以外の研究機関との連携の強化と拠点保有情報等の確認

・拠点外シーズ支援と連携ネットワーク構築





※図中の数字はシーズ数

・拠点外シーズの育成支援の強化

シーズA：拠点外シーズ支援枠の新設

最大6,500万円/拠点

通常枠
最大3,000万円

拠点外シーズ
支援枠
最大3,500万円

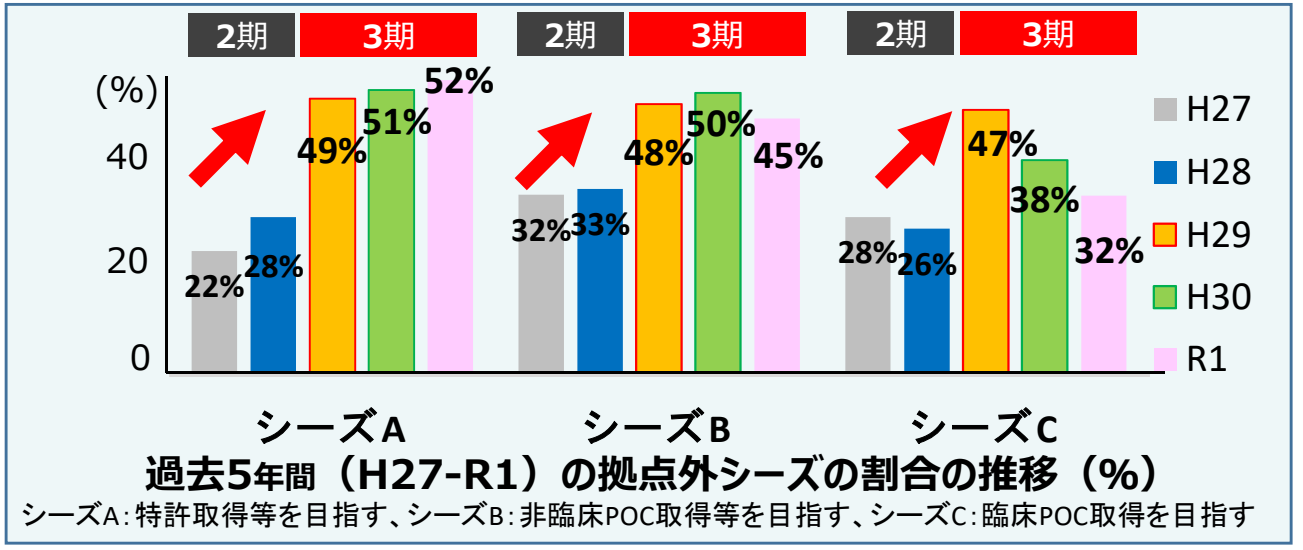
拠点外シーズの支援は、3,500万円を追加配分➡拠点外シーズ支援を更に強化

シーズB･C：シーズ応募枠の見直し

・シーズB：拠点内シーズ→上限4課題
拠点外シーズ→**上限なし**

・シーズC：拠点内シーズ→上限3課題
拠点外シーズ→**上限なし**

第3期より、拠点外シーズ支援数の上限を廃止➡拠点外シーズ支援を更に強化



過去5年間（H27-R1）の拠点外シーズの割合の推移（%）

シーズA：特許取得等を目指す、シーズB：非臨床POC取得等を目指す、シーズC：臨床POC取得を目指す

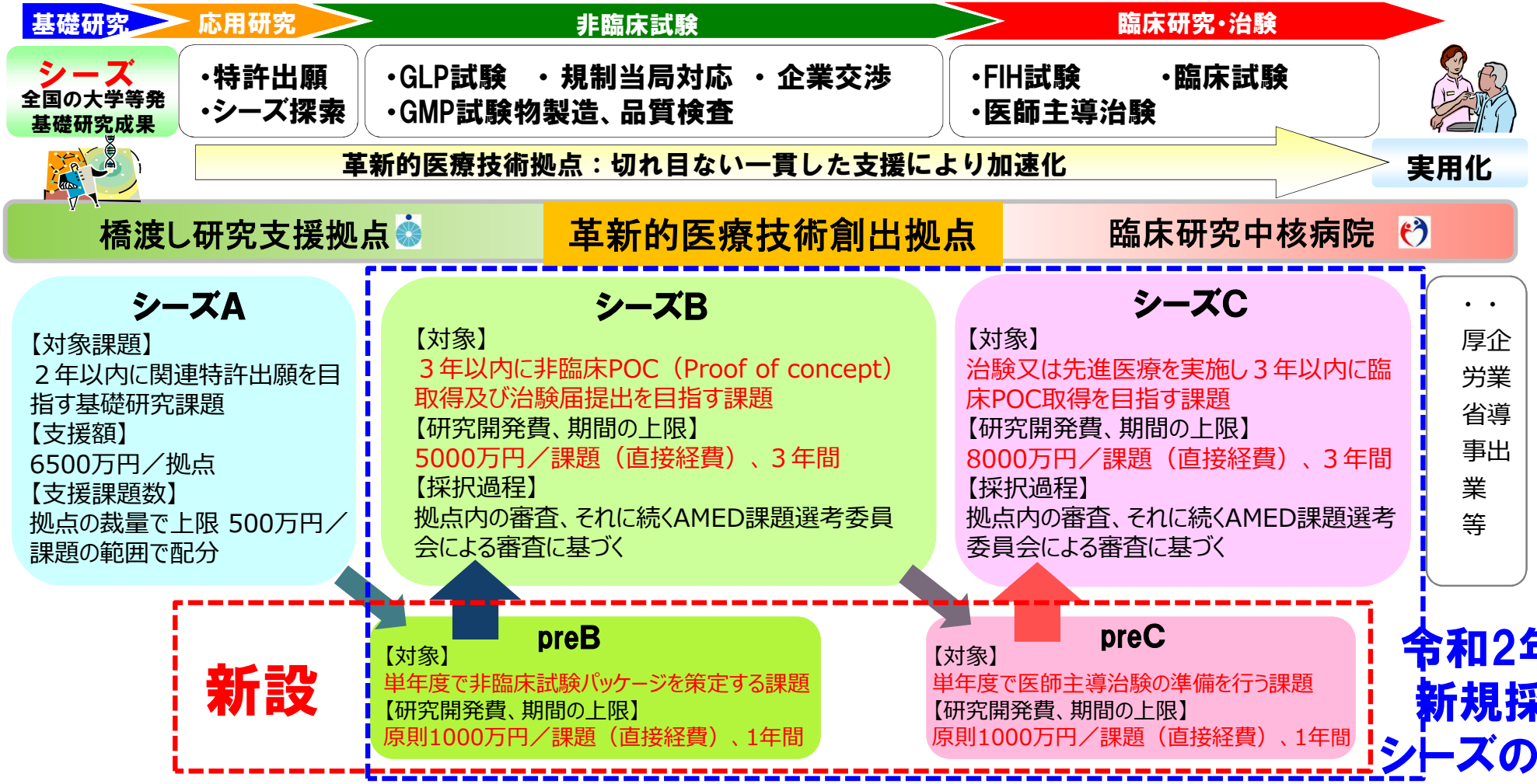
文部科学省ライフサイエンス課説明資料より改変

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
③革新的医療技術創出拠点

令和元年度評価

②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

平成30年度革新拠点PJの拠点調査会議において、拠点よりシーズAとB、シーズBとCの間で切れてしまう現状が指摘されたことを受け、平成31年度公募では、間をつなぐ少額・単年度の研究費を試行的に設けた。その結果、単年度の応募が89件と応募全体の72%を占めたことから、令和2年度新規採択（R1.11～R2.3公募）ではさらにpreB、preCを新設した。



Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
③革新的医療技術創出拠点

令和元年度評価

②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

医療実用化を目指した広範なシーズの育成と、医歯薬系分野以外の先端技術・知識を利活用して医療イノベーションを推進することを目的とし、「異分野融合型研究開発推進支援事業」の実施拠点を公募。4拠点を採択して、拠点外を含む異分野融合シーズの開発支援を開始している。

異分野融合型研究開発推進支援事業

趣旨

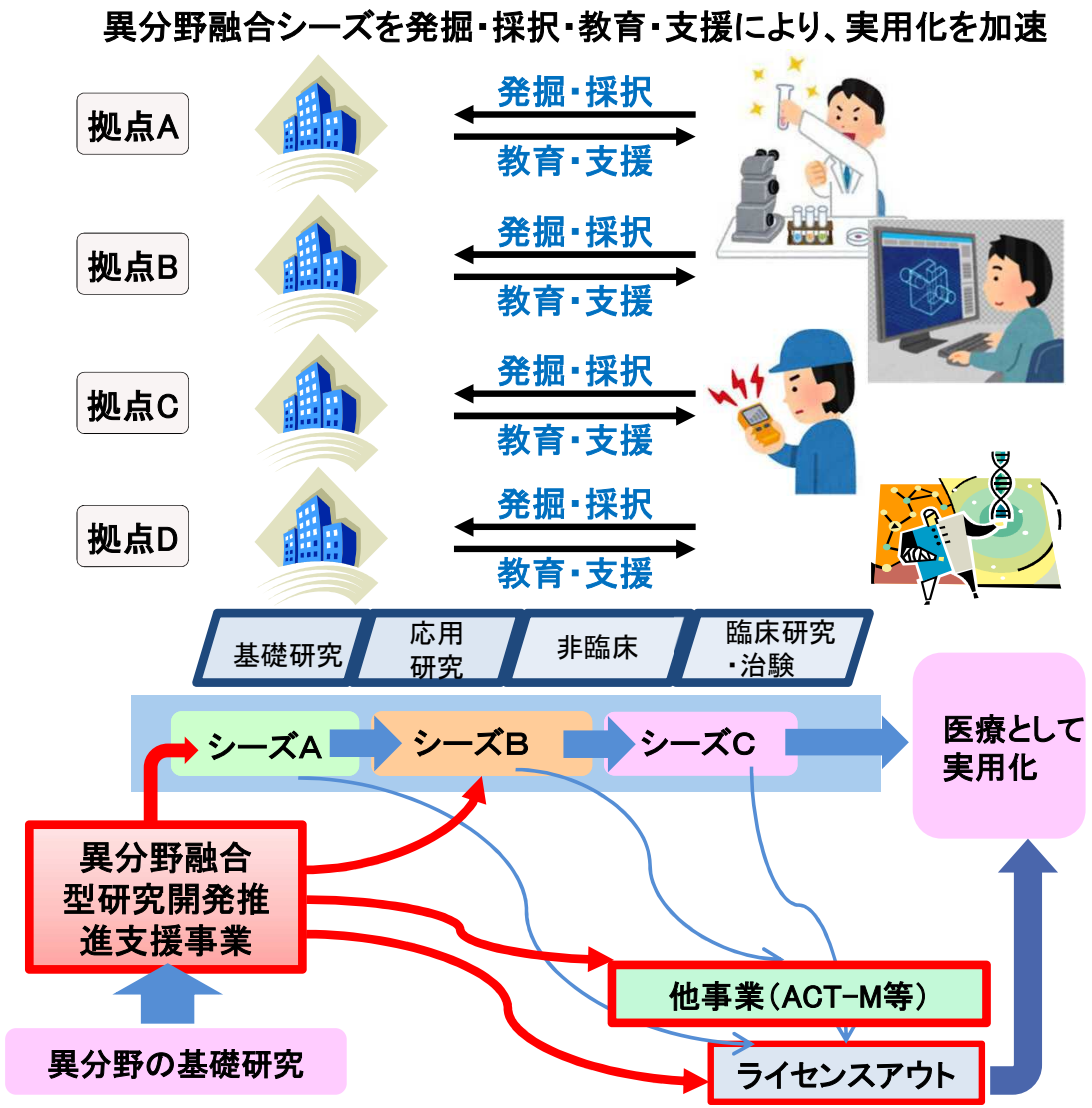
医療実用化を目指した広範なシーズの育成と、医歯薬系分野以外の先端技術・知識を利活用して医療イノベーションを推進することを目的とし、医療分野と異分野との融合シーズの開発支援事業を実施する。

本研究費は医歯薬系分野以外との異分野融合による医療応用・実用化を目指したシーズの早期支援として、拠点が総額の範囲内で研究費を配分するとともに、開発研究者への教育を充実させ、研究開発過程での支援の質の向上を意図して交付されるものである。”異分野”とは、医学・歯学・薬学以外の広い分野を対象とし、文科省が新学術領域として助成した新たな研究領域（学際研究）も含む。

採択拠点・金額等

・採択拠点：4拠点
（東北大学、慶應義塾大学、京都大学、大阪大学）

・期間・スケジュール：　2.5年、令和元年10月～令和4年3月



Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
③革新的医療技術創出拠点

令和元年度評価　期間実績評価

③-1人材確保・育成を含めた拠点機能の強化・特色化

背景及び課題

- 臨床研究・治験活性化の更なる促進には、治験手続き業務の集約が必要。
- しかしながら、研究実施機関は各々独自のIRBで審査しているケースが多く、中央IRBの活用が思うように進んでいない。



研究の質のバラつき、研究進捗の遅延等が発生

【求める成果】

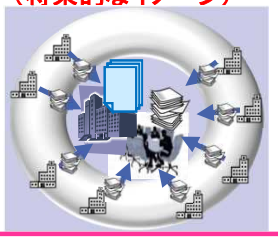
- ◆ 質の高い臨床開発環境の整備、審査の質的均一化
- ◆ 治験・倫理審査委員会の集約化
- ◆ 治験・臨床研究の効率化及びスピードの向上

平成30年4月
臨床研究法施行

【平成29年度】
臨床研究中核病院等において、審査を受託する要件、審査を委託する機関の審査依頼要件を調整、整理

中央IRBによる一括審査
（将来的なイメージ）





- ✓ 平成30年度は、臨床研究法の施行に伴い、必然的に中央IRB化が急速に進むことが想定される。
- ✓ 認定臨床研究審査委員会となった機関が参加する協議体を設置し、適宜意見交換を行う。
- ✓ 当該機関においては、これまでの倫理指針に則った審査と法に則った審査や運用上の違いに関する課題の抽出と解決策を検討する。

平成30年度

研究費
臨床研究・治験活性化協議会

協議会の開催

事業費
認定臨床研究審査委員会による課題の抽出

4つのWGによる調査と協議会

①臨床研究法の統一書式及びCOI管理様式の見直し
②法施行前より実施中の特定臨床研究に関する踏査
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

調整費
非介入研究における倫理審査基盤整備

ガイドライン作成

令和元年度

令和元年度より中央IRB促進事業

認定臨床研究審査委員会(CRB)審査の効率化や質の均てん化、非介入研究の一括審査の推進・審査の効率化・質の向上を目指し以下の取組を行った。
①CRB協議会
②臨床研究実施機関の協議会
③研究者が必要とするCRBの情報についての調査
④多施設共同研究における事務局業務支援システム仕様に関する検討
⑤非介入研究審査ガイドラインの運用及び改訂

令和2年度

CRBのより実践的な課題解決の方策を検討するため、地域毎にWGを設置
・７つの地域毎に地域担当機関を選定(北海道・東北、東京、東京以外の関東信越、東海北陸、近畿、中国四国、九州)
・各地域の地域担当機関をとりまとめる代表機関を選定し、地域毎で未解決となっている検討内容を集約し、課題解決に向けた方策等を検討する。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
③革新的医療技術創出拠点

令和元年度評価　期間実績評価

③-1人材確保・育成を含めた拠点機能の強化・特色化

拠点間ネットワークの主な取組

○モニタリングに係る取組（事務局：東北大学）

初級・中上級モニター研修会の実施等



○監査に係る取組（事務局：東京大学）

監査担当者研修の実施等

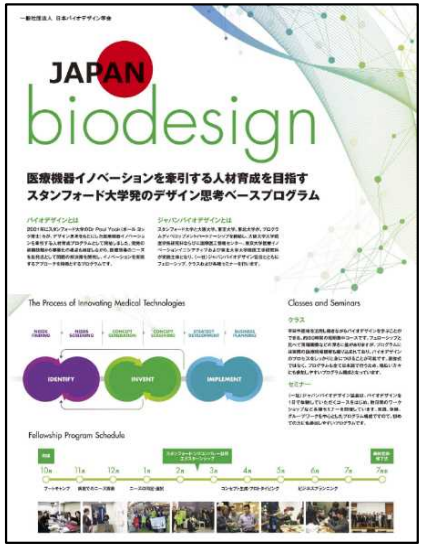
○人材育成に係る取組

TSMTP（代表：九州大　分担：北大、東大、阪大）

Japan Biodesign（代表：阪大　分担：東北大、東大、名大、岡山大、九州大、筑波大）

Research Studio（代表：筑波大　分担：慶應大、京大、阪大、岡山大、九州大）







<事務局打合せ>
2017年8月3日　モニタリングおよび監査事務局打合せ

<モニタリング>
2018年6月25日　第3回モニタリングWG
2018年12月4日　第4回モニタリングWG
2019年3月25日　第5回モニタリングWG
2019年6月10日　第6回モニタリングWG
2019年12月9日　第7回モニタリングWG
2019年3月24日　第８回モニタリングWG

<監査>
2018年4月6日　監査WGH29実績報告会
2018年5月18日　H30第1回監査WG
2018年11月6日　H30第2回監査WG
2019年3月12日　H30第3回監査WG
2019年7月5日　R1第1回監査WG
2019年10月9日　R1第2回監査WG
2020年3月26日　R1年度第3回監査WG



初級モニター研修会：東京・仙台・大阪・福岡の４会場で同時映像配信

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
③革新的医療技術創出拠点

令和元年度評価

③-1人材確保・育成を含めた拠点機能の強化・特色化

橋渡し研究戦略的推進プログラム・拠点間ネットワークの実務者WGにおいてプロジェクトマネジメントにおける課題の洗い出しと対応策を議論し、橋渡し拠点が連携して前臨床段階を担当できる初級プロジェクトマネージャー（PM）を育成し、キャリアパスの仕組みを構築するPM育成プログラムを企画立案し、令和2年度より開始する予定。

「拠点・拠点外間のプロジェクトマネジメント機能のネットワーク化」（PM育成事業の企画立案）

【拠点間の共通課題】

- 医薬品・医療機器等の開発計画を管理するプロジェクトマネジメント機能は橋渡し研究支援の根幹であるが、拠点外への支援も含め、一拠点だけで当該機能を担うことは難しく、ネットワーク化が必要。
- ネットワーク化が進まない理由としては、アカデミアにおいてプロジェクトマネージャー(PM)のキャリア形成が確立していないことが挙げられる。
  →特に若手PMのスキルを認定する基準やPMの育成方法の確立が必要

拠点間連携の下、若手PM（初級PM）のキャリアパス構築等により、拠点外を含むPM人材やプロジェクトマネジメント機能のネットワーク化を図ることで、持続可能な拠点の確立や拠点外での橋渡し研究推進を目指す。

教育プログラムの策定
評価認証の設定



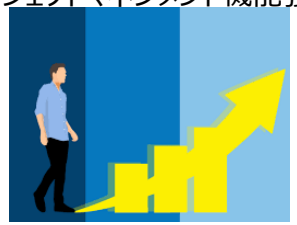
若手PMをOJTで育成



Certification
キャリアパス構築



PM人材の確保
プロジェクトマネジメント機能強化





Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
③革新的医療技術創出拠点

令和元年度評価　③-1人材確保・育成を含めた拠点機能の強化・特色化

「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：

臨床研究中核病院ベンチャー支援窓口の運営管理、中核病院におけるベンチャー支援の機能や実績の周知、中核病院間での情報共有・横の連携強化推進を目的とした連絡会の開催

【ベンチャー支援窓口の運営管理】

ベンチャー企業に対する研究開発の支援（医学的評価、臨床研究支援機能の提供）

【ベンチャー支援の機能や実績の周知】

ジャパン・ヘルスケアベンチャー・サミット2019（10/9～10/11）出展（臨床研究中核病院12拠点）。

臨床研究中核病院セッションでは、東北大学病院、大阪大学病院、千葉大学医学部付属病院が支援したベンチャー企業とともに発表、パネルディスカッションでは革新的医療技術創出拠点プロジェクト PO 近藤充弘 氏とスタンフォード大学　池野文昭 氏がコーディネートを務め、京都大学医学部附属病院がパネリストを担当（聴講数：122人）。

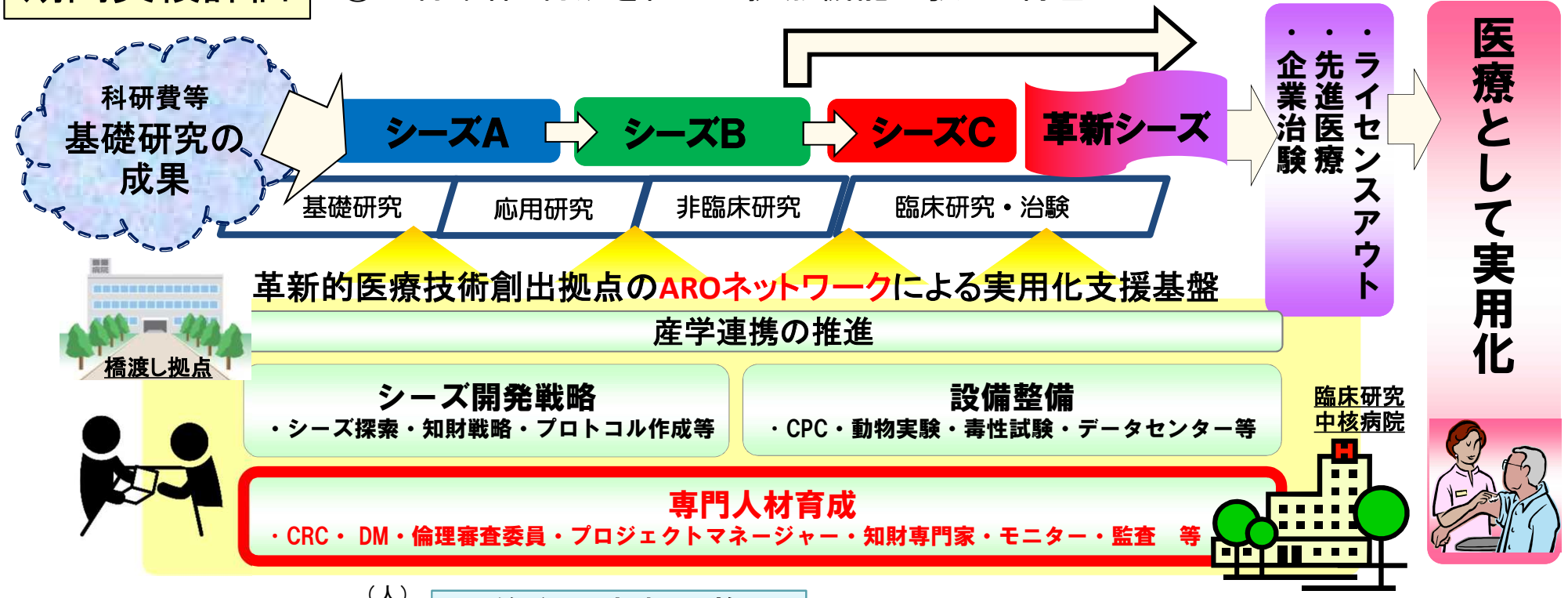
【連絡会の開催】

医療系ベンチャー支援についての適切なあり方について議論（臨床研究中核病院の役割、大学本部との連携、等）。（5回実施）

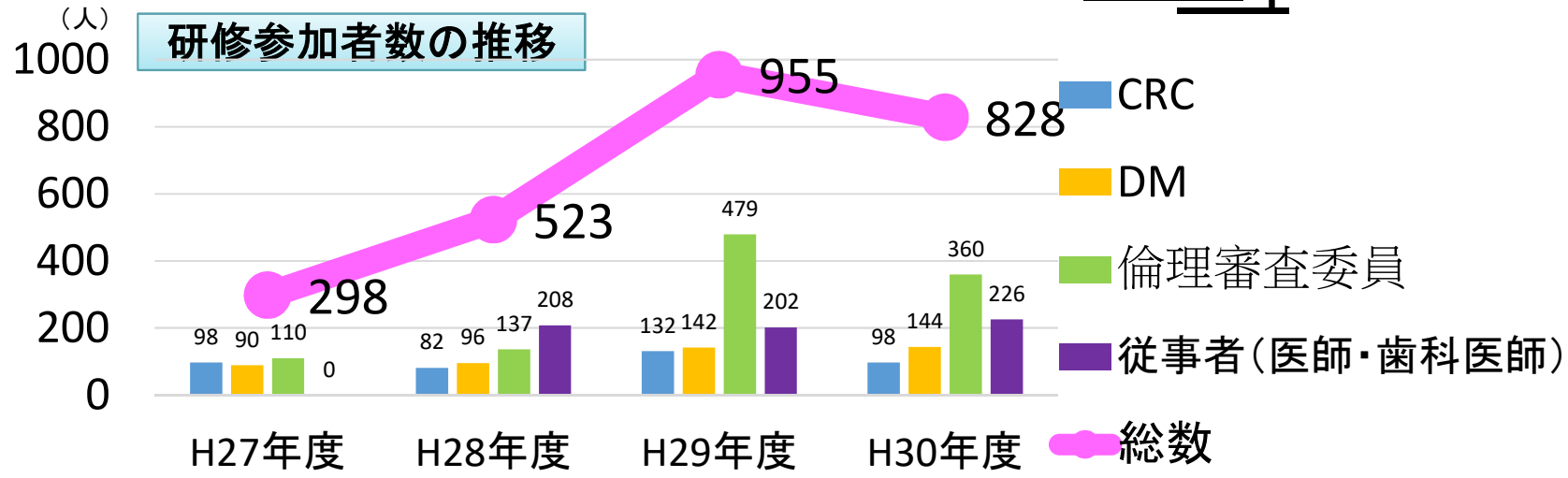
Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
③革新的医療技術創出拠点

期間実績評価

③人材確保・育成を含めた拠点機能の強化・特色化



- ○ 専門人材の確保、モニター・監査人材の研修、教育訓練等を実施
- ○ 臨床研究人実施者を育成



Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
③革新的医療技術創出拠点

令和元年度評価　期間実績評価

＜成果目標達成状況＞　※Ⅰ(2)①～⑨のみ

KPI 【2020年までの達成目標】	令和元年度の達成状況
医師主導治験届出数：年間40件	21件（AMED全体で44件）
First in human試験（企業主導含む）：年間40件	30件（AMED全体で36件）

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
③革新的医療技術創出拠点

評価軸	橋渡し研究支援拠点、臨床研究中核病院等の一体化を進めたか。

令和元年度評価　期間実績評価

・革新的医療技術創出拠点の拠点長等、PD、PS、PO、関係省庁が出席する全体会議、13拠点を訪問して行う拠点調査会議を実施し、拠点機能の強化やシーズ開発・臨床試験の進捗、革新拠点プロジェクトを構成する各事業の実施状況等について把握するとともに、ARO人材の俸給表やキャリアパスについて拠点と意見交換を行った。拠点外シーズの発掘・育成の負担や臨床試験の品質管理、特にリスクに基づく取組（risk-based approach）の整備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取組を令和2年度の事業内容に反映した。

・各拠点や病院の一体的な運営を推進するために文部科学省及び厚生労働省と協力しつつAMEDが中心となって、適宜今年度の本プロジェクトの実施内容及びスケジュール等について共有・議論した。年度上半期には、PD、PS、PO、文部科学省、厚生労働省及び革新的医療技術創出拠点とともに全体会議を実施し、当該年度のサイトビジットの重点方針等について拠点間で共有した。

・毎年、拠点調査会議（サイトビジット）を行い、前年度サイトビジットでの指摘事項に対する対応や、研究成果の実用化のための体制構築について各拠点の取組状況をヒアリングするとともに、PD、PS 、PO、文部科学省、厚生労働省及びサポート機関と連携の上、拠点のARO機能等の体制整備状況について適切なアドバイスを行った。

・平成29年度より、革新的医療技術創出拠点プロジェクト関連シーズについては、文部科学省が所管する橋渡し研究戦略的推進プログラムと厚生労働省が所管する革新的医療シーズ実用化研究事業を、同一の課題評価委員会で一体的に評価出来るよう、PD、PS 、PO、文部科学省及び厚生労働省と調整を行い、平成29年12月～平成30年3月、平成30年6～8月に合同公募を実施、中間・事後評価についても同一の評価委員会で実施している。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
③革新的医療技術創出拠点

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

令和元年度評価　期間実績評価

・拠点へのサイトビジット等において、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、CPC技術員等の人員確保状況および今後の充足予定を把握するとともに、拠点機能の強化・特色化に向けた指導助言を実施した。
・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。
・中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会での一括審査促進に向けた取り組み、審査する研究の質の担保を図るについては、前ページ等の③を参照のこと。
・生物統計家人材育成支援事業において、生物統計家人材育成支援プロジェクト会議を開催し、それぞれ東京大学大学院、京都大学大学院を中心とする2つの育成拠点の体制整備、教育カリキュラムの策定状況を確認するとともに、平成30年度からの学位授与コースの開設、専門教育・育成研修の実施に向けた指導・助言を行った。2拠点において、平成30年度より大学院修士課程の学生受け入れを開始した。現在、第I期生21名、第II期生18名が在籍し、研鑽に務めている。
・質の高い臨床研究を実施できるようにするため研修については、前ページ等の③-1を参照のこと。また、CPC業務をこなす細胞培養員等に対しては、学会と協働のもと拠点を対象とした講習会を開催するなどの人材育成を継続して行った。
・平成30年度、令和元年度には実務者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（PM）の育成に関する課題について議論し、初級PMを育成するプログラムを企画立案した。
・ジャパン・ヘルスケアベンチャー・サミットにて、臨床研究中核病院におけるベンチャー支援に関するブースを出展した（2018年10月：6拠点、2019年10月：全12拠点）。
・平成30年度には、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質の担保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。令和元年度には事業の目標となるVision, Missionを策定し、各病院が有する医療情報システムの状況の把握、品質管理、標準化手法の検討、ユースケースの検討を行った。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
③革新的医療技術創出拠点

評価軸 各医療機関が有するARO機能について客観的な評価を行ったか。

令和元年度評価　期間実績評価

・「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。
・令和元年度も継続して、革新的医療技術創出拠点を含む全国のAROの研究開発支援機能についての調査を実施してその機能を類型化し、AROの支援機能を客観的に評価する指標を検討、結果をまとめるとともに、jRCTを活用した若手研究者や研究支援者の貢献度評価手法の検討を行った。

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

令和元年度評価　期間実績評価

・橋渡し研究支援拠点、臨床研究品質確保体制整備病院、臨床研究中核病院、国際共同臨床研究実施推進拠点に対し、ICH－GCP準拠の国際水準の質の高い臨床研究や医師主導治験を実施するための支援を、サイトビジット等を通じて行った。
・革新的医療シーズ実用化研究事業の「若手研究者によるプロトコール作成研究」では、研究開発費を200～300万円程度としている。令和元年度の公募では、研究代表者が所属する機関以外の中核病院に支援を求める場合には研究開発費の上限を400万円とする工夫により、拠点内4課題、拠点外2課題を採択して、拠点外シーズ支援の促進を図った。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
④再生医療

令和元年度評価

評定(自己評価)	
A	PDPSPOによる助言や交流会等による研究者同士のネットワークの形成、課題担当者の進捗管理・アドバイスによる橋渡し等、再生医療の迅速な実現を進めるための支援を行った結果、①令和元年度中に5件(内1件は臨床研究の治験への移行)が臨床研究段階又は治験段階に移行とともにiPS細胞ストックの安定供給の見通しを得ており、臨床研究・治験の実施が進んだ。また、②「幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム」において、若手研究者による新たな研究シーズの創出が始まった。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」の継続した採択時評価や進捗管理への活用し、CRO協会との共催セミナー等の新たなプロジェクト運営の方法を構築を継続した。さらに、③研究交流会や公開シンポジウム等を通じてネットワーク形成、人材育成、患者・一般への情報発信を継続させ、公募においてMRCとの日英国際共同研究枠も設けた。以上より、「研究開発成果の最大化」に向けて顕著な成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められる。

①再生医療研究開発における顕著な成果事例

①-1 大阪大学　西田教授らは、iPS細胞由来角膜上皮幹細胞疲弊症に対する角膜上皮細胞シートを用いた臨床研究において、第1例目の移植を実施した。

①-2 佐賀大学　中山教授らは、バイオ3Dプリンタで作製した細胞製人工血管をヒトに移植する臨床試験を開始する。

①-3 東京医科歯科大学　武部教授らは、脂肪肝オルガノイドの創出に成功した。

①-4 筑波大学　家田教授らは、非ステロイド性抗炎症薬による心筋細胞の新たな再生法を発見した。

①-5 名古屋市立大学の松永教授と富士フイルム(株)は、ヒトiPS細胞由来腸管上皮細胞「F-hiSIEC™」を実用化した。

②再生関連プロジェクトの一体運営と事業運用改善

②-1 「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」を活用し、事業間連携に結びつけた。

②-2 日本CRO協会・AMED共催セミナーにおいてのCROへの委託での留意点について実例を含めて説明した。
「AMED再生医療研究交流会」において、再生医療研究課以外の再生医療関係研究課題参画研究者やPSPOも参加し、参加者が相互に議論できる機会を提供した。

②-3 研究課題における規制科学課、難病研究課・臨床研究課との連携を継続した。

③研究育成、人的交流、国際連携等に資する活動

③-1 「幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム」の中で、若手研究者の登用を積極的に進めた。海外の研究者を招聘して公開シンポジウムを実施した。

③-2 「AMED再生医療研究交流会」を開催し、支援する研究者の交流の促進、及び若手研究者に発表機会を提供した。
患者及びその家族・一般を中心に理解を得ることを目的に「AMED再生医療公開シンポジウム」を開催し、研究者が患者、市民のニーズと触れる場として活用した。

③-3 「幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム」の中で、令和2年度はMRCと協力して日英国際共同研究枠を設けた。

④成果目標達成状況(評価指標)

KPI【2020年までの達成状況】	令和元年度の達成状況
・iPS細胞技術を活用して作製した新規治療薬の臨床応用	iPS細胞技術によって病態解明の研究は進んだが、臨床研究又は治験への移行はなかった。
・再生医療等製品の薬事承認数の増加	自家培養口腔粘膜上皮(ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング)が希少疾病用再生医療等製品として厚労省・部会で了承された。
・臨床研究又は治験に移行する対象疾患の拡大　目標35件	5件(但し1件は臨床研究から治験への移行)が臨床研究又は治験に移行した。京都大学iPS細胞ストックが公益財団となり、恒久的な細胞提供への道筋ができた。
・再生医療関係の周辺機器・装置の実用化	富士フイルムが、名古屋市立大学　松永教授の分化誘導技術を用いたヒトiPS細胞由来腸管上皮細胞「F-hiSIEC™」を発売した
・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	FDA、CiPAのメンバーとiPS心筋のwhite paperをまとめおり、in silicoのwhite paperが2019年9月に論文誌に受理された。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
④再生医療

期間実績評価

評定（自己評価）
A

AMED設立後この5年間において、②採択課題のマネジメント見直し、外部機関との連携、再生医療ナショナルコンソーシアムの体制構築やiPS細胞バンク、患者・市民参画（PPI）の取組など、再生関連プロジェクトの一体運営と事業運用改善により、①再生医療課題の臨床研究段階又は治験段階への移行47件、iPS細胞を活用した新規治療薬の治験開始4件、周辺機器・装置等の販売開始6製品8品目、省庁における新たなガイドライン策定への貢献など、再生医療研究開発における顕著な成果事例を創出した。また、③研究者交流の推進、若手・国際人材の育成、国際共同公募の実施、患者・一般への情報発信・交流の活動も活性化させており、再生医療分野の基礎研究・応用研究をいち早く実用化・事業化に繋げる基盤を構築した。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。

次期は、再生・細胞医療・遺伝子治療事業部という新たな体制において、今期構築した基盤を土台に、再生医療が『3つのLIFE（生命・生活・人生）』に対して可能性と選択肢を拡げ、社会に展開していくための新たなフェーズへ移行し、再生医療分野に留まらない分野融合、若手研究者の参画等による研究の加速、患者や家族、市民の皆様、社会や地域との共創など、オープンな形で再生医療（研究）の社会展開を目指していく。

	H27	H28	H29	H30	R1	見込	期間
自己評価	A	A	B	A	A	A	A
主務大臣評価	A	B	B	A		A	

①再生医療研究開発における顕著な成果事例

①-1 臨床研究・治験の実施の期間実績として、期中上方修正した目標値35件を上回る47件が臨床研究段階又は治験段階に移行し、研究開発を推進した。主な研究課題として、a 神戸アイセンター病院　高橋政代センター長らのiPS細胞由来網膜色素上皮細胞による加齢黄斑変性治療、b 京都大学　高橋淳教授らのiPS細胞由来ドパミン神経前駆細胞によるパーキンソン病治療、c 大阪大学　澤教授らのiPS細胞由来心筋細胞シートによる重症心不全治療、d 東京医科歯科大学　関矢教授らはの自家滑膜幹細胞による半月板損傷治療等があげられる。

①-2 iPS細胞を活用した新規治療薬の探索で、4件の治験が開始された。

①-3 「幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム」において、若手研究者による新たな研究シーズの創出も始まった。（令和元年度成果参照）

①-4 6社が周辺機器・装置等の実用化を進め、6製品8品目が発売し、1種の既存製品を薬機法に基づくマスターファイル登録した。

①-5 ヒト細胞原料の安定供給実現に向けた委員会が、「ヒト（同種）細胞原料供給に係るガイダンス（初版）」を取り纏め公表した。

②再生関連プロジェクトの一体運営と事業運用改善

②-1 「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」の作成・活用による事業間連携強化、競合技術の比較調査を活用した事業設計等により、事業運営体制を強化した。また、京都大学iPS細胞研究所の臨床用iPS細胞ストックを供給する体制を構築するとともに、疾患iPS細胞バンクの寄託及び活用を推進した。

②-2 製薬協や日本CRO協会との共催セミナー、「AMED再生医療研究交流会」と「再生医療公開シンポジウム」での交流・情報交換等の仕組みを構築した。

②-3 レギュラトリーサイエンス関連研究課題で規制科学課、創薬支援研究課題で難病研究課・臨床研究課によりAMED内連携が進んだ。

②-4 再生医療学会を中心とした「ナショナルコンソーシアム」の再生医療等データ登録システム（NRMD）を構築し、活用を進めた。

③研究育成、人的交流、国際連携等に資する活動

③-1 「幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム」の中で、次世代のシーズ作りを目指した基礎的な研究開発を実施、及び若手研究者の登用と交流強化を進めた。

③-2 「AMED再生医療研究交流会」が、研究者の交流を促進させるとともに若手研究者に発表機会と研究者交流の場として定着した。また、「AMED再生医療公開シンポジウム」が、再生医療について患者及びその家族・一般の理解の促進と研究者が患者・市民のニーズを知る場として定着した。

③-3 シンガポール科学技術研究庁A*STAR、英国MRCとの国際連携を強化した。

③-4 ヒトiPS細胞由来心筋細胞等を用いた心毒性試験をICHガイドライン化に向けた活動を継続して進めている。

④成果目標達成状況（評価指標）

KPI【2020年までの達成状況】	令和2年3月迄の累積達成状況
・iPS細胞技術を活用して作製した新規治療薬の臨床応用	患者由来の疾患特異的iPS細胞を活用した創薬研究により、4件の治験が開始された。
・再生医療等製品の薬事承認数の増加	これまで累計で5品目、7症例が承認された。
・臨床研究又は治験に移行する対象疾患の拡大　目標35件	47件（内、治験：21件、対象疾患数：41疾患）が臨床研究又は治験に移行し、対象疾患は着実に拡大、KPIを達成した。
・再生医療関係の周辺機器・装置の実用化	6品目8種の製品が発売され、1品目がマスターファイル登録された
・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	産官学連携の検証試験等からiPS心筋で催不整脈リスクの予測可能となり、ICHに作業部会が設置され、本アプローチの利用可能性を検討が始まった。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
④再生医療

令和元年度評価

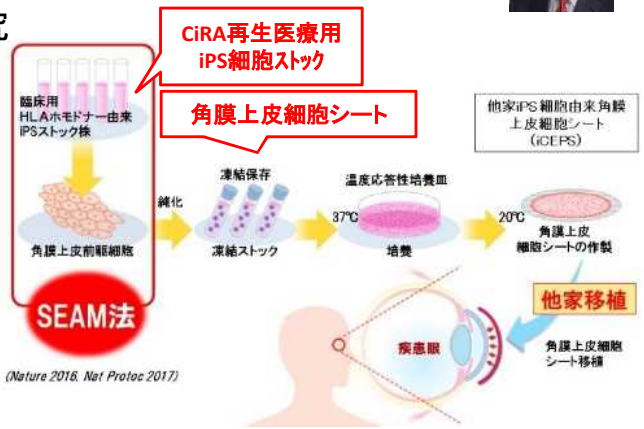
①再生医療研究開発における顕著な成果事例

①-1　大阪大学　西田幸二教授　他



iPS細胞由来角膜上皮細胞シートを用いた角膜疾患に対する臨床研究

- 他人由来のiPS細胞から作製した角膜上皮細胞シートによる患者の眼表面に移植
- 平成31年3月　厚生科学審議会再生医療等評価部会にて了承
- 令和元年7月　大阪大学病院で第1例目の移植を実施

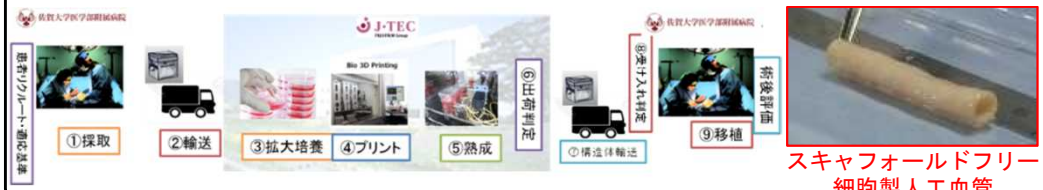


①-2　佐賀大学　中山功一教授　他



バイオ3Dプリンタを用いて造形した小口径Scaffold free細胞人工血管の臨床研究

- 患者の皮膚組織の細胞よりバイオ3Dプリンタにて管状構造体を作製し、人工血管として移植する臨床研究
- 令和元年8月　特定認定再生医療等委員会にて了承
- 令和元年11月　再生医療等提供計画を厚生労働大臣に提出



スキャフォールドフリー細胞製人工血管

①-3　東京医科歯科大学　武部貴則　教授　他



内胚葉オルガノイドの線維化誘導とメカノスクリーン体系の創生

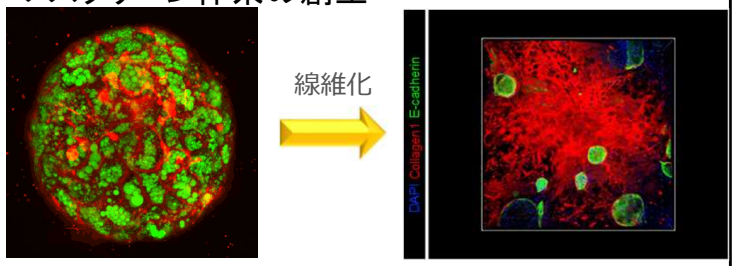
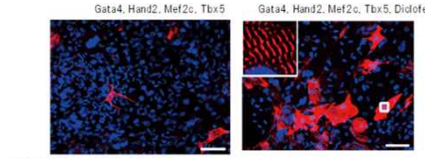


図 ヒト脂肪性肝炎オルガノイドの蛍光観察像
緑：中性脂肪、赤：細胞膜

2019年5月30日　Cell Metabolism

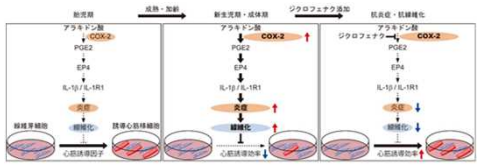
①-4　筑波大学　家田真樹　教授　他





線維芽細胞から誘導された心筋細胞
（左）心筋誘導遺伝子のみ導入、（右）心筋誘導遺伝子導入及びジクロフェナク添加

ダイレクトリプログラミングによる慢性心不全に地する革新的心臓再生



ジクロフェナクによる新生児期・成体期線維芽細胞からの心筋誘導促進
（左）胎児期線維芽細胞、（中）新生児期・成体期線維芽細胞、（右）ジクロフェナク添加後

2019年2月20日　Nature Communications

①-5　名古屋市立大学　松永民秀　教授　他



生体模倣小腸－肝臓チップ：バイオアベイラビリティ予測と安全性評価in vitroモデルの開発

iPS細胞から腸管上皮細胞への分化誘導技術の開発に取り組み、同技術を用いた富士フイルム(株)がヒトiPS細胞由来腸管上皮細胞「F-hiSIEC™」として販売を開始した。同細胞は、ヒト生体に近い機能を有し、薬物の吸収性を高精度に評価でき、医薬品開発の効率化に大きく貢献することが期待されている。



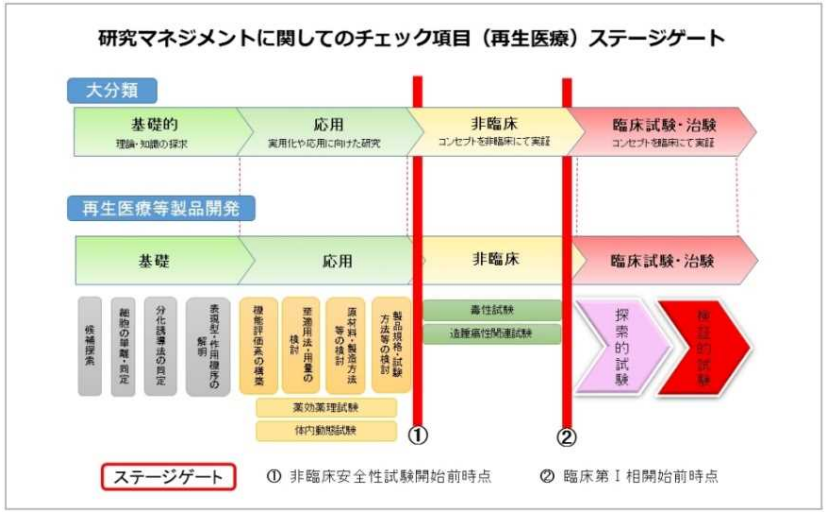
Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
④再生医療

令和元年度評価

②再生関連プロジェクトの一体運営と事業運用改善

②-1 平成30年度に取り纏めた「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、令和元年度「再生医療実用化研究事業」等の関連事業の中間評価や事前評価等で活用することにより、プロジェクトの運営や事業間連携を強化した。

②-2 再生医療実用化研究事業において、令和元年9月に日本CRO協会・AMED共催セミナーを開催し、アカデミアを中心の対象として再生医療においてのCROへ委託する上での留意点について実例を含めて説明した。



再生医療研究事業のマネジメント



AMED再生医療研究交流会

令和元年度も継続して実施したAMED再生医療研究交流会において、研究者が相互に議論できる機会として、ポスターセッション、企業展示を提供した。また、再生医療研究課以外の再生医療関係研究課題参画研究者やPSPOにも参加してもらい交流・情報交換の幅を広げることが出来た。

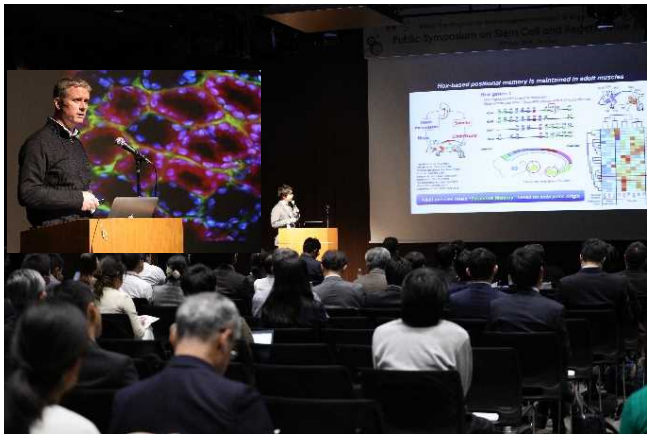
②-3 継続したAMED内連携として、レギュラトリーサイエンス関連の研究課題（移植細胞の造腫瘍性評価、iPS細胞を利用した医薬品毒性評価等）の規制科学課との共同で運用した。また、及び疾患特異的iPS細胞を活用した創薬支援研究課題の難病研究課・臨床研究課との情報を共用した。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐ実施④再生医療

令和元年度評価

③研究育成、人的交流、国際連携等に資する活動

③-1 「幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム」を平成28年度に開始した。その中で、次世代のシーズ作りを目指した基礎的な研究開発を実施するとともに、公募の際には、若手研究者枠を必ず設け、若手研究者の登用を積極的に進めた。令和元年度は、海外の研究者を招聘して公開シンポジウムを実施した。令和2年度公募においても、継続して若手枠を設けて公募した。東京医科歯科大学　武部教授、筑波大学　家田教授等の若手研究者が、国際的にも評価の高い雑誌に新たな再生医療シーズとしての成果を発表した。



「幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム」公開シンポジウム



「AMED再生医療公開シンポジウム」

③-3 昨年度から継続して、「AMED再生医療研究交流会」を開催し、再生医療実現プロジェクトで支援する研究者の交流を促進させるとともに若手研究者に発表機会を提供した。また、ポスター発表は、若手研究者を中心に発表してもらう等、若手の活躍の場を提供した。

③-4 昨年度までから継続して、再生医療について患者及びその家族・一般を中心に理解を得ることを目的に「令和元年度AMED再生医療公開シンポジウム」を開催した。治験実施中の研究課題、これから臨床研究に入る研究課題、機作研究課題に関する講演の他、パネルディスカッションやポスター解説を織り交ぜて、第一線の再生医療の研究者による、再生医療をわかりやすく解説を行った。本年度は装置展示、細胞観察などで、市民がよりリアルに研究にモノに触れる機会とした。

③-2 「幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム」の令和2年度の公募では、MRCと協力して日英国際共同研究枠を設けた。

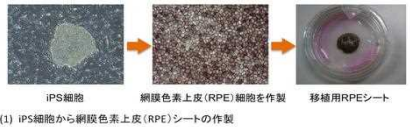
Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
④再生医療

期間実績評価

①再生医療研究開発における顕著な成果事例

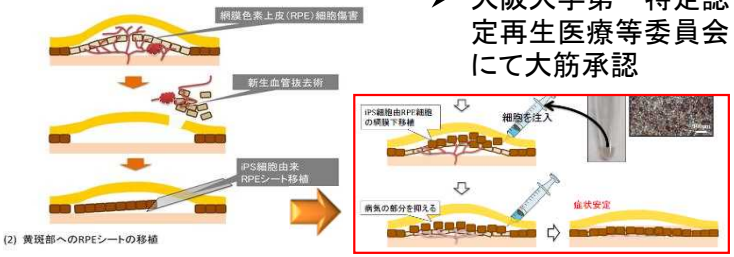
①-1a 神戸アイセンター病院 髙橋政代 研究センター長 他



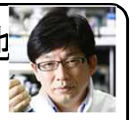


網膜色素変性に対する同種iPS細胞由来網膜シート移植に関する臨床研究

- 大阪大学第一特定認定再生医療等委員会にて大筋承認



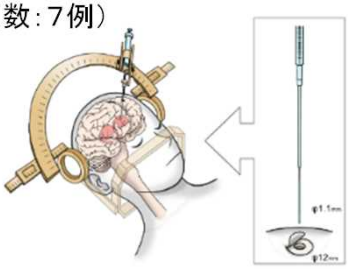
①-1b 京都大学 髙橋淳 教授 他



パーキンソン病に対する他家iPS細胞を用いた医師主導治験

- パーキンソン病に対して、他家由来iPS細胞からドパミン神経前駆細胞を作製し、移植する医師主導治験。
- 現在、1例実施。(予定症例数：7例)

iPS細胞から分化誘導したドパミン神経前駆細胞(約500万個)を、注射針のような器具を用い、パーキンソン病の患者の脳に細胞を注入する。

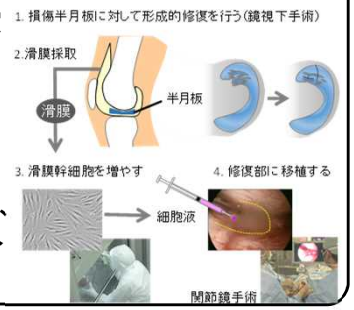


①-1d 東京医科歯科大学 関矢一郎 教授 他



自家滑膜幹細胞の半月板損傷を対象とする医師主導治験、および変形性膝関節症に対する滑膜幹細胞の関節内注射

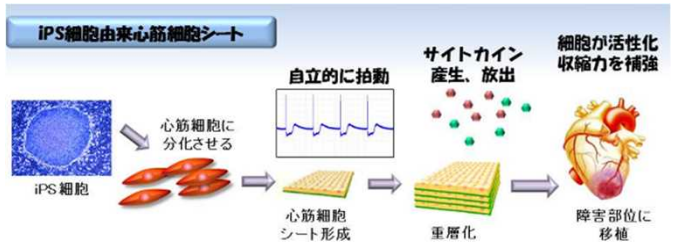
- 半月板損傷患者に自家滑膜幹細胞を移植する医師主導治験を実施、再生医療製品として製造販売申請の準備中。
- 滑膜幹細胞については、変形性膝関節症患者への実用化にも取組中。



①-1c 大阪大学 澤芳樹 教授 他



心筋再生治療に関するiPS細胞を用いた医師主導治験



- 他人由来のiPS細胞から作製した心筋細胞シートによる重症心不全(虚血性心筋症)になった患者、最大10例に移植を予定。
- 令和元年10月29日、医薬品医療機器総合機構に医師主導治験届を提出。
- 令和2年1月21日、1例目の被験者にiPS細胞由来心筋細胞シートを移植。

①-5 ヒト細胞原料の安定供給実現に向けた委員会 委員長：東京医科歯科大学 森尾友宏 教授

「ヒト(同種)細胞原料供給に係るガイダンス(初版)」の取り纏め

- 「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」の一環として実施した。
- 平成30年度 ヒト細胞原料の供給にかかる体制整備に向けた研究を開始
- 研究開発事業と並行して、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、検討を進めている。
- 令和2年3月 ヒト細胞原料の採取や仲介に携わることを目指す医療機・関、学術研究機関及び企業等での活用を狙い、経産省より取り纏ため「ヒト(同種)細胞原料供給に係るガイダンス(初版)」を公表した。また、ドナーに対する説明文書及び同意文書(IC)の参考例文と解説を附属資料として策定した。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
④再生医療

期間実績評価

②再生関連プロジェクトの一体運営と事業運用改善

②-1 京都大学iPS細胞研究所が作製する臨床用iPS細胞ストックについて有識者からヒアリングを行い、課題を抽出した。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。

平成30年度に取り纏めた「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」を中間評価や事前評価等で活用することにより、プロジェクトの運営や事業間連携を強化した。

平成30年度に再生医療等製品とその競合技術の比較調査を実施し、令和元年度には調査結果について勉強会を催し、評価や事業設計の参考とした。

②-2 再生医療実用化研究事業において、「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）を開催したアカデミアと製薬企業等産業界の討議から、令和元年度から新たな産学連携課題の公募を開始した。また、令和元年度にはアカデミアのシーズをより企業にとって魅力的とするため、アーリーフェーズの研究を進めるアカデミアの研究者を対象とした相談会、及び日本CRO協会・AMED共催セミナーを開催した。

毎年度継続して実施しているAMED再生医療研究交流会が定着し、ポスターセッション、企業展示の場で、研究者が相互に議論できる機会となった。また、再生医療研究課以外の再生医療関係研究課題参画研究者やPSPOにも参加してもらい交流・情報交換の幅を広げることが出来た。

②-3 レギュラトリーサイエンス関連の研究課題（移植細胞の造腫瘍性評価、iPS細胞を利用した医薬品毒性評価等）の規制科学課とのAMED内連携が定着した。また、疾患特異的iPS細胞を活用した創薬支援研究課題の難病研究課・臨床研究課との情報の共用が進んだ。

②-4 再生医療臨床研究促進基盤整備事業（平成28年度～）において、再生医療学会を中心に、再生医療の知識・経験を有する大学、医療機関等が連携する「ナショナルコンソーシアム」の活動の一つとして、再生医療等データ登録システム（NRMD）を構築した。臨床研究に関しては、再生医療等臨床研究データ登録システム（NRMD/CR）に平成29年度より眼科関連研究（RPE臨床研究データ）の登録受入を開始、平成30年度より上市済みの製品の再生医療等製品使用データ登録システム（NRMD/PMS）に登録を開始し、データの提供も進めている。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
④再生医療

期間実績評価

③研究育成、人的交流、国際連携等に資する活動

③-1 「幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム」を平成28年度に開始した。その中で、次世代のシーズ作りを目指した基礎的な研究開発を実施するとともに、公募の際には、若手研究者枠を必ず設け、若手研究者の登用を積極的に進めた。地方での事業内交流会、アウトリーチ活動としての小・中学校で出張授業、海外の研究者を招聘した公開シンポジウムを実施した。

③-2 昨年度までと同様に、「AMED再生医療研究交流会」を開催し、再生医療実現プロジェクトで支援する研究者の交流を促進させるとともに若手研究者に発表機会と交流の場として定着した。

毎年継続して開催している「AMED再生医療公開シンポジウム」が、再生医療について患者及びその家族・一般を中心に理解を得る場として定着した。第一線の再生医療の研究者による分わかりやすい講演、パネルディスカッション、ポスター発表や企業等の展示を通して、再生医療技術に関する知識の普及と研究者が直接患者や市民と話す場として機能している。

③-3 共同ワークショップ開催によるシンガポール科学技術研究庁A*STARとさらなる連携強化、「幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム」での公募による英国MRCとの共同研究を推進した。

③-4 iPS細胞技術を応用した心毒性評価手法の開発について、国際検証試験により、ヒトiPS細胞由来心筋細胞を用いて医薬品による致死性不整脈の発生リスクを評価できることを明らかにし、その論文が受理された。また、国際安全性薬理学会で発表し、議論を行った。さらに、2018年に開催されたICHにおいて、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。ICHガイドライン化に向けた活動を継続して進めている。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
④再生医療

令和元年度評価　　期間実績評価

＜成果目標達成状況（評価指標）＞　※Ⅰ(2)①～⑨のみ

KPI【2020年までの達成状況】	① 令和2年3月迄の累積達成状況	② ①のうち、令和元年度の達成状況
・iPS細胞技術を活用して作製した新規治療薬の臨床応用（臨床研究又は治験の開始）	患者由来の疾患特異的iPS細胞を活用した創薬研究により、以下の4件の治験が開始された。① 京都大学iPS細胞研究所　戸口田教授らグループによる進行性骨化性線維異形成症（FOP）へのシロリムスの治験、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の生理学教室（岡野栄之教授）との共同研究によるPendred症候群へのシロリムスの治験、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の生理学教室（岡野栄之教授）との共同研究によるALSへのロピニロール塩酸塩の治験、④京都大学iPS細胞研究所　井上治久教授らによるALSへの疾患特異的iPS細胞を用いたスクリーニングにより見出したボスチニブの治験。	患者由来の疾患特異的iPS細胞の利用による新薬探索につながる病態解明の研究は進んだが、臨床研究又は治験への移行はなかった
・再生医療等製品の薬事承認数の増加	これまで累計で5品目、7症例が承認された。 H27年度に、① 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」）、②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、③ 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、④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」)、⑤追加適応としてヒト（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）「表皮水疱症」が、⑥ チサゲンレクルユーセル（「キムリア点滴静注」(ノバルティスファーマ株式会社)「B細胞性急性リンパ芽球性白血病」及び「びまん性大細胞型B細胞リンパ腫」）、⑦ ベペルミノゲン　ペルプラスミド（「コラテジェン筋注用4mg」（アンジェス株式会社）「慢性動脈閉塞症」）が条件・期限付きで承認された。令和元年度に、自家培養口腔粘膜上皮（開発名：COMET01、株式会社ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング）「角膜上皮幹細胞疲弊症」が厚労省薬事・食品衛生審議会 生医療等製品・生物由来技術部会で希少疾病用再生医療等製品の指定が了承された。	令和元年度は、自家培養口腔粘膜上皮（開発名：COMET01、株式会社ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング）「角膜上皮幹細胞疲弊症」が2月に厚労省薬事・食品衛生審議会 生医療等製品・生物由来技術部会において希少疾病用再生医療等製品への指定が了承された。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施

④再生医療

令和元年度評価　期間実績評価

＜成果目標達成状況＞　※Ⅰ(2)①～⑨のみ

KPI【2020年までの達成状況】	① 令和2年3月迄の累積達成状況	② ①のうち、令和元年度の達成状況
・臨床研究又は治験に移行する対象疾患の拡大 目標35件	「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、47件（内、治験：21件、対象疾患数：41疾患）が臨床研究又は治験に移行し、対象疾患は着実に拡大、KPIを達成した。	5件（対象疾患数：5疾患、但し1件は臨床研究から治験への移行）が臨床研究又は治験に移行し、対象疾患が拡大した。京都大学iPS細胞ストックが公益財団となり、恒久的な細胞提供への道筋ができた。
・再生医療関係の周辺機器・装置の実用化	「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を発売した。リプロセルは、③ 実用化済みのDMSOフリー型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、④ 再生医療向けとして生物由来原料基準を満たしたヒトiPS細胞用培養液「ReproMedTM iPSC Medium」を発売した。⑤ 富士フイルムが、名古屋市立大学松永教授が開発した腸管上皮細胞への分化誘導技術を用いたヒトiPS細胞由来腸管上皮細胞「F-hiSIEC™」を発売した。「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」からは、マトリクソームが⑥-1 細胞培養基質のラミニンの高純度精製品iMatrix-411、⑥-2 希釈操作が不要なEasy iMatrix-511、⑥-3 Easy iMatrix-511をコーティングプレート化したQuick iMatrix-511を発売した。⑦和光純薬工業が、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「Fluclair™」として発売した。	富士フイルムが、名古屋市立大学　松永教授が開発した腸管上皮細胞への分化誘導技術を用いたヒトiPS細胞由来腸管上皮細胞「F-hiSIEC™（エフーハイシーク）」を発売した。同細胞は、ヒト生体に近い機能を有し、薬物の吸収性を高精度に評価でき、医薬品開発の効率化に大きく貢献することが期待されている。
・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	産官学が協力した研究班で検証試験等を実施し、iPS心筋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、FDAらとともにiPS心筋の評価系に関して再現性や有用性を明らかにし、iPS心筋のbest practiceに関するwhite paperをまとめている。また、in silicoでのbest practiceに関するwhite paperについては、2019年9月に論文として受理された。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することがコンセプトペーパーに記載された。	FDAやCiPAのメンバーとともにiPS心筋のbest practiceに関するwhite paperをまとめている。in silicoでのbest practiceに関するwhite paperは、2019年9月に論文として受理された。iPS心筋の議論のなかで、iPS細胞の未成熟な特性に関する問題が解決していないことから、本研究班において、配向性の向上や、筋小胞機能向上作用のある薬物の添加による成熟の促進を検討した。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
④再生医療

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

令和元年度評価

・「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」(iPS細胞研究中核拠点)において、京都大学CiRAの金子新准教授らがゲノム編集技術を用いて作製したHLA遺伝子の選択的に破壊されたiPS細胞を、次世代iPS細胞ストックのモデルとして研究株を令和元年7月より配布している。
・京都大学CiRAでは、臨床用HLAホモiPS細胞ストック事業のための、ドナーリクルートを継続して行った、
・AMEDでは、京都大学CiRAが作成する臨床用iPS細胞ストックについて有識者からヒアリングを行い、課題を抽出した。

期間実績評価

・iPS細胞中核拠点(京都大学CiRA)にて、平成31年3月に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した。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、より広い患者を対象とした再生医療の提供が可能となった。
・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遺伝子を選択的に破壊することにより、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絶反応を抑制するiPS細胞を作製する技術を開発した。
・慶応義塾大学医学部の岡野栄之教授は、慢性期の脊髄損傷モデルマウスに対してNotchシグナル阻害剤で前処理したヒトiPS細胞から樹立した神経幹/前駆細胞の移植治療単独で、運動機能を回復･維持させることに成功した。また本神経幹/前駆細胞は、再生や運動機能回復が困難といわれる過酷な状況においても、軸策の再生・伸長が起こり、再髄鞘化も誘導することが明らかとなった。ヒトiPS細胞由来神経幹/前駆細胞移植の臨床応用を実現させる上で、非常に大きな成果である。
・京都大学IPS細胞研究所は、平成27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細胞ストックまで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る。臨床研究用iPS細胞ストックの提供可能により、臨床研究、治験に向けた研究が加速することとなり、最近の同種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。
・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日に供給を再開しており、安定した供給が出来ている。
・ヒトiPS細胞の分化誘導に関する研究開発が着実に実施されており、臨床研究・治験に段階に進んでいる。また、非臨床試験の内容等の共有を実施するとともに、多能性幹細胞の分化特性に関する研究開発を実施している。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
④再生医療

評価軸	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。

令和元年度評価

・「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ものも含め「再生医療実用化研究事業」において、以下5件の研究課題が臨床研究又は治験に移行した。①佐賀大学　中山教授らが、人工血管によるバイオ3Dプリンタを用いて造形した小口径Scaffold free自家細胞製人工血管の臨床研究を開始、②大阪大学　澤芳樹教授らがiPS細胞から作製した心筋細胞シートを用いた、虚血性心筋症対象の医師主導治験（臨床研究からの移行）を開始（患者1名に移植）、③名古屋大学　秋山教授らが、モザイク健常皮膚由来培養皮膚による表皮融解性魚鱗癬の治療の臨床研究を開始、④日本大学　松本主任教授らが、脱分化脂肪細胞（DRAFT）による重症下肢虚血の臨床研究を開始、⑤京都大学　妻木教授らが、同種iPS細胞由来軟骨移植による関節軟骨損傷の再生治療の臨床研究を開始した。また、大阪大学　西田幸二教授らが、iPS細胞由来の角膜上皮細胞シートによる角膜上皮幹細胞疲弊症治療の臨床研究において、患者1名への移植を実施した。

・「再生医療実用化研究事業」において、医薬品等規制科学課と連携し、造腫瘍性等に関する研究への支援を行った。国立医薬品食品衛生研究所　佐藤部長らは、ヒトiPS細胞等の多能性幹細胞由来移植細胞の造腫瘍性試験における官民共同・多施設による研究体制を構築し、造腫瘍性試験の多施設での検証試験を実施した。その結果は、投稿論文として国際雑誌に採択され、HESI、ISCT、ISCBI、GAiT、CIRMの共催によるPSC Manufacturing Expert Panel（ロサンゼルス、米国）において議論も進めた。

期間実績評価

・「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」および「再生医療実用化研究事業」において、47件の研究課題（神戸アイセンター病院　高橋センター長らによる網膜色素変性に対する同種iPS細胞由来網膜シート移植に関する臨床研究、京都大学　髙橋授らによるパーキンソン病に対する他家iPS細胞を用いた医師主導治験、東京医科歯科大学　関矢教授らによる自家滑膜幹細胞の半月板損傷を対象とする医師主導治験等）が臨床研究又は治験に移行し、中間で上方修正した目標値35件を上回って達成した。これらの課題においては、「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「再生医療実用化研究事業」でシームレスに支援した研究課題も含まれる。

・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、その結果をまとめた投稿論文が国際雑誌に採択された。

・再生医療における品質・安全性評価手法の開発に向けた取組みとして、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）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。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
④再生医療

評価軸 再生医療の実現化を支える産業基盤を構築したか。

令和元年度評価

・「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、国内でヒト細胞原料を安定的に供給するために、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、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、モデル事業で蓄積された知見等に関する議論を取り纏めた「ヒト（同種）細胞原料供給に係るガイダンス（初版）」を作成し、ヒト細胞原料の採取や仲介に携わることを目指す医療機関、学術研究機関及び企業等に広く活用されるように、経済産業省が公表した（令和2年3月）。また、ガイダンス（初版）について情報共有を図るとともに、ヒト細胞原料の安定供給に向けた各種施策や現状・課題・再生医療に係る検討が必要な課題等について議論するためのワークショップを開催した（令和2年2月）。

・「再生医療シーズ開発加速支援」では、再生医療シーズ開発の産業化を促進するために、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、臨床開発前段階シーズの迅速な臨床研究・治験への進展に資する課題（平成30年度6件、令和元年度2件）、再生医療周辺要素技術の実用化に向けた開発（令和元年度3件）を採択した。

期間実績評価

・「再生医療等の産業化に向けた評価手法等の開発」では、個々の再生医療等製品の開発における安全性や有効性に関する評価手法の確立や、製造工程合理化の検討等を行っており、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。

・「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」において、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10^{10} 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。

・「再生医療等の産業化に向けた評価手法等の開発」において、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。

・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。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
④再生医療

評価軸	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。

令和元年度評価

・「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）において、以下の研究を支援した。

①京都大学　戸口田教授らは、遺伝性骨疾患の1つである骨形成不全症患者由来iPS細胞を用いた病態の再現系により、有効性が示唆されているmTOR阻害剤によって病態が部分的に改善されることを確認した。

②東北大学　青木教授らは、筋萎縮性側索硬化症（ALS）患者より樹立したiPS細胞から運動ニューロンとマイクロ流体デバイスによって運動ニューロンの軸索の形態が異常となる病態モデルを作製し、ALSの早期治療標的となり得る新たな病態を見出した。

③熊本大学　西中村教授らは、先天性ネフローゼ症候群の患者の皮膚からiPS細胞を用いて初期病態を再現することに成功し、ネフリンの遺伝子変異を修復することによって治療できる可能性を示した。

期間実績評価

・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課・臨床研究課と情報共用を行い、事業協力を進めた。①京都大学　戸口田教授らは、進行性骨化性線維異形成症（FOP）患者のiPS細胞の活用によりシロリムスの有効性を見出し、医師主導治験を開始した。②再生医療研究課で支援した慶應大学　岡野栄之教授がペンドレット症候群の患者からのiPS細胞を活用して病態解明と治療に向けての候補化合物シロリムスを見出し、臨床研究課で支援している慶應大学　小川　郁先生らによる治験の実施に結びつけた。③岡野教授は、ALSの患者由来のiPS細胞を活用し、治療薬候補として、パーキンソン病治療薬ロピニロール塩酸塩の有効性を見出し、難病研究課で支援している慶應義塾大学病院の中原仁教授、高橋愼一准教授の第Ⅰ／Ⅱa相医師主導治験を開始へとつなげた。④京都大学　井上教授はALS患者由来のiPS細胞を活用し、慢性骨髄性白血病治療薬ボスチニブを治療薬候補として見出し、臨床研究課における事業で医師主導治験を開始した。

・平成29年度より「疾患特異的iPS細胞の利活用促進・難病研究加速プログラム」を開始した。難病等由来の疾患特異的iPS細胞を樹立し疾患メカニズムを解明し、解析技術の高度化や創薬スクリーニング系の構築をめざす14件を「研究拠点」とした。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
④再生医療

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

令和元年度評価

・FDAやCiPAのメンバーとともにiPS心筋のbest practiceに関するwhite paperをまとめている。また、in silicoでのbest practiceに関するwhite paperについては、2019年9月に論文として受理された。iPS心筋の議論のなかで、iPS細胞の未成熟な特性に関する問題が解決していないことから、本研究班においては、配向性の向上や、筋小胞機能向上作用のある薬物の添加による成熟の促進を検討した。
・本研究班については適宜情報共有を行い事業間連携に取り組んだ。

期間実績評価

・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、iPS心筋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。
・国際検証試験に参加して、FDAらとともにiPS心筋の評価系に関して再現性や有用性を明らかにし、iPS心筋のbest practiceに関するwhite paperをまとめている。また、in silicoでのbest practiceに関するwhite paperについては、2019年9月に論文として受理された。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。
・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。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
④再生医療

評価軸	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。

令和元年度評価

・「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)において、「バンク活用促進課題」(理化学研究所バイオリソースセンター)に拠点等から疾患特異的iPS細胞等の寄託を受けるバンクの運営体制を構築し、令和元年度は177人の健常人由来の870株および853患者由来の411疾患、3423株の疾患特異的iPS細胞の寄託を受け、82人の健常人由来93株および262患者由来の173疾患、468株の疾患特異的iPS細胞を提供した(令和元年度12月現在)。

・「再生医療技術を応用した創薬支援基盤技術の開発」では、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る。令和元年度は、チップ等のデバイス上で各種臓器細胞(肝臓、小腸、腎臓、血液脳関門(BBB))を立体培養・共培養する技術、培養した細胞を産業化可能なデバイス作製へ応用する技術、及び、構築されたデバイス上での細胞培養手法を検証し基準を設定する技術の開発を進めた。また、令和元年度から、肝臓を対象とし、ヒトiPS細胞より分化誘導した臓器細胞と、その同一ドナーの臓器細胞の機能の相関性を明らかにする課題を採択した。

期間実績評価

・平成29年度より「疾患特異的iPS細胞の利活用促進・難病研究加速プログラム」を開始した。難病等由来の疾患特異的iPS細胞を樹立し疾患メカニズムを解明し、解析技術の高度化や創薬スクリーニング系の構築をめざす14件の「研究拠点」した。

・幹細胞を用いて医薬候補品の安全性や薬物動態等の評価の基盤技術の構築を目指すため、平成29年度に「再生医療技術を応用した創薬支援基盤技術の開発」を開始した。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。本事業ではユーザー(製薬企業)ニーズを踏まえ、デバイスのプロトタイプを集中研の形で開発を進め、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。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑤オーダーメイド・ゲノム医療

令和元年度評価

評定（自己評価）	
A	国内の3大バイオバンクの連携をバイオバンク横断システムの公開を通じ強化するとともに、欧米主要国の取組と連携して、疾患ゲノム情報のデータシェアに資する取組を進め、国内外のプレゼンスを高めた。さらに、mRNAデータに関わるデータベースの公開による国内製薬企業での製薬承認への活用が実現したほか、ゲノム医療研究においては、世界で初めての調査シークエンサーを用いた疾患解明等を進めるなど医療実装につながる研究成果も得られるなど、大変優れた成果が得られたと言える。以上より、「研究開発成果の最大化」に向けて顕著な成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められる。

① ゲノム・医療情報の国際データシェアリングを推進

・オーダーメイド・ゲノム医療の成果である日本人集団の疾患ゲノム情報を国際社会で共有し、グローバルな疾患解明研究の推進を目的とする「GEM-Japan」プロジェクトは、**GA4GH（Global Alliance for Genomics & Health）の基幹プロジェクトとして以下の国際連携施策を進め、国内外のプレゼンスを高めた。**

- 日本人集団レファレンスアレル頻度の開発と公開
- データシェアリングの技術開発や標準化策定へ貢献
- ゲノム医療実現の礎となる国際標準技術を国内に導入
- 若手データサイエンティストが国際舞台で活躍

② 国内バイオバンク連携と試料・情報の利活用促進

・我が国のゲノム医療実現推進の基盤となるバイオバンク利活用促進のため、国内のバイオバンクをネットワーク化し、試料・情報のバイオバンク横断検索システムを構築、運用することで、バイオバンクの生体試料・情報の利活用を促進を目的に、**バイオバンク横断検索システム**を公開（令和元年年10月）するとともに、バイオバンク利活用ハンドブックの第1版（令和2年3月）を公開した。

③ ゲノム創薬研究の推進

・ヒトPre-mRNA／mRNA及びDNAデータベースであるD3Gに、非ヒト霊長類の**pre-mRNA/mRNAデータを加えたデータベースを令和元年6月に公開**した。本データベースは**国内製薬企業で薬事承認に活用**されており、今後の医療分野の進展に寄与することが期待される。

・遺伝子関連検査を実施する臨床検査室の客観性と信頼性を確保するためのガイダンス文書の発行やゲノム医療に関わる看護師、薬剤師、検査技師向けのテキストを作成し、HP上で公開したほか、延べ2,000名以上の医療従事者に対し講習会を実施し、社会的ニーズが求められているゲノム医療従事者の養成等の推進に貢献。

④ 疾患原因となるゲノムの新規同定

・長鎖シークエンサーを用いたWGS解析により、従来型の短鎖シークエンサーでは検出不可能であった大規模な構造変異が、神経難病の未解決の疾患原因となっていることを発見した。**世界で初めての長鎖シークエンサーを用いた疾患解明**の成果である。

・GWASとWESを組み合わせた独自の解析法により、37番目の新たな血液型を決める血液型抗原を特定し、原因不明の輸血不適合性を解決した。**この血液型は日本の研究グループが決定した初めての例**となった。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑤オーダーメイド・ゲノム医療

期間実績評価

評定（自己評価）	
A	①東北メディカル・メガバンク計画の成果である健常人全ゲノムリファレンスパネルを未診断疾患に活用すること等によるゲノム診断の飛躍的加速の実現、国内外のデータシェアリング推進のための国際連携とデータシェアリングポリシーの拡充など他事業連携・情報共有・成果の利活用を促進するとともに、②日本人ヒトゲノムの新規データベースの整備・拡充を行うなど、疾患関連遺伝子の同定や日本人の標準ゲノム配列の特定に加え、データシェアリングの策定及び適用事業の拡大やゲノム医療情報の国際標準化への新たな取組みなどを行い目標を大きく上まわった。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。

	H27	H28	H29	H30	R1	見込	期間
自己評価	S	A	A	A	A	A	A
主務大臣評価	S	A	A	A		A	

① 他事業連携による革新的成果の創出、成果の利活用等の新展開

東北メディカル・メガバンク計画によるゲノム診断の飛躍的加速とゲノム医療研究のための基盤構築

当初計画の8千人規模の全ゲノムシークエンスを完了するとともに、解析済みデータ4.7KJPNとして令和元年9月に公開。IRUD全体で4600家系以上の未診断状態の患者のゲノム解析を加速したほか、6万7千人分の地域住民コホート調査参加者や、三世代コホート調査参加者のうちヘプタファミリーについて、試料・情報の分譲を開始し、個別化予防・医療の加速に貢献した。さらに、日本人基準ゲノム配列(JRGA)の初版となるJG1の公開などゲノム医療研究に大きく進展させる基盤を構築した。

臨床ゲノム情報統合データベース整備事業による医療実装につながる基盤の実現

本事業により、製造販売承認を取得した「NCCオンコパネル」は、令和元年度保険収載され、がんゲノム医療実現の礎となった。

難聴では平成30度に、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ほか、クリニカルシークエンスの臨床的意義付け作業を効率化するため開発されたAI技術は、東京大学医科学研究所および愛知県がんセンターにおいて、令和元年度がんゲノム医療の現場に実装された。また、電子カルテデータをデータベース化する「サイバーオンコロジー®」という技術を発展させた成果は、令和元年度京大とNTTにより事業化された。

ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業による疾患のゲノム医療実現を目指した研究開発

長鎖シークエンス解析を含む技術開発の重点化により、未知の構造変異やレア変異が続々と同定可能となった。この先端技術をもって多因子疾患に挑み、パーキンソン病に効果のある医薬品の発見や、薬剤の副作用リスクを測るパネル検査の臨床試験等、多因子疾患のゲノム医療の実現に貢献した。

国内外のデータシェアリング推進等による利活用の新展開の促進

ゲノム情報を用いた医療の実現に向け、平成28年度にデータシェアリングポリシーを策定し、「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、データマネジメントプランの提出を義務づけた。その後、難病、感染症、認知症の事業等にも拡充して展開するとともに、データの国際標準化を目指す国際活動（GA4GH）に参画するなど、成果の利活用の新展開を促す基盤を整備した。

新たな形態による情報共有の促進

バイオバンク研究者が一堂に会した「バイオバンク連絡会」を平成29年度～令和2年度までに累計9回開催し、延べ1,000人が参加し、活発な意見交換が行われた。さらに3大バイオバンクを中心とした主要バイオバンクの協力によるバイオバンク横断検索システムの構築・公開が実現。ゲノム研究支援の情報ポータルサイトを開設した。

② 世界に例のない新規データベースの整備やデータ拡充

画期的なゲノム疾患データベースの公開

「臨床ゲノム情報統合データベース事業」では、がん、希少・難治性疾患、感染症、認知症等の各疾患領域を対象にデータストレージ（DS）を構築し、ゲノム解析情報と詳細な臨床データを研究者でシェアする体制を整備するとともに非制限公開可能なデータを集約した。これにより、米国ClinVarなどにも無かった日本人特有のゲノム疾患情報が蓄積されたデータベースとなる（MGeND）の構築が実現し、平成30年3月に一般公開した。データ収集体制の拡充のため遺伝子検査、学会、他事業（IRUD、RADDAR-J、C-CAT）との連携や、全国700を超える医療機関と連携し、84万症例の疾患ゲノム解析を実施した結果、20万件の疾患関連バリアントを登録できた。

世界的に注目されている三世代コホートを含む健常人ゲノムデータベースの整備

「東北メディカルメガバンク計画」では、**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、当初目標**15万人規模のバイオバンク構築**を計画通り完了した。特に、世界に先駆けて実施している妊婦とその子供・家族をリクルートする大規模**三世代コホート調査**を継続することで、**累計数が7.3万人**を達成した。

6万7千人分の地域住民コホート調査参加者の試料・情報や、三世代コホート調査参加者のうちヘプタファミリーについて試料・情報の分譲を開始し、個別化予防・医療の加速に貢献した。（再掲）

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑤オーダーメイド・ゲノム医療

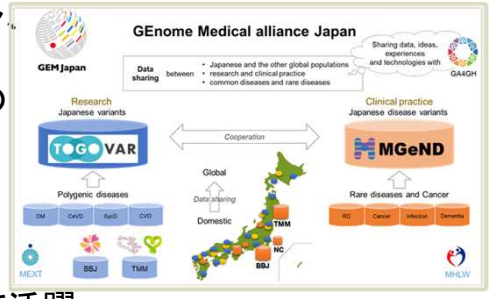
令和元年度評価

①ゲノム・医療情報の国際データシェアリングを推進

GEM Japan はアジア唯一の GA4GH ドライバープロジェクトとして、以下を推進している。
・ゲノム医療情報の国際的標準に基づくデータシェアリング
・日本人集団の疾患ゲノム情報を国際社会で共有し、グローバルな疾患解明研究とゲノム医療

令和元年度には以下の成果があり、国内外のプレゼンスを高めた。

- 世界の多様な集団における疾患解明に資する0.01%レベルの日本人集団レファレンスアレル頻度を提供
- GA4GH標準の策定に参画し東アジア集団の特徴について発信
- ゲノム医療実現の礎となる国際標準技術を国内に導入（広域連合分散統合、バリアントアノテーション、医療情報の共有、電子的同意、データアクセス制御）のべ約20名の海外研究者と約200名の国内研究者がGEM Japanに集会
- AMED が触媒し、多くの若手データサイエンティストがGEM Japanメンバとして国際舞台で活躍





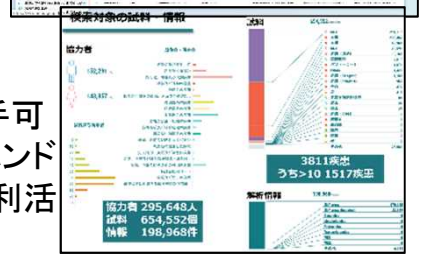
※ TogoVar（日本人ゲノム多様性統合データベース）：JSTバイオサイエンスデータベースセンター（NBDC）とROISライフサイエンス統合データベースセンター（DBCLS）との共同研究で開発している、ゲノム配列の個人による違い（バリアント）などを収集・整理したデータベースです。

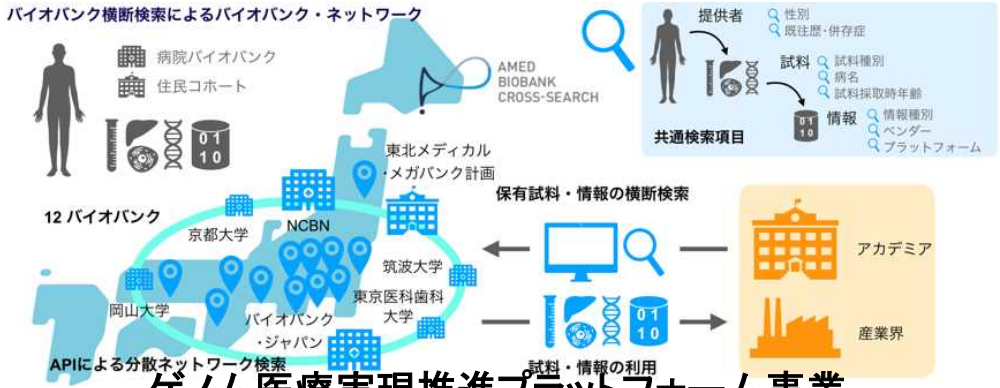
②国内バイオバンク連携と試料・情報の利活用促進

我が国のゲノム医療実現推進の基盤となるバイオバンク利活用促進のため、国内のバイオバンクをネットワーク化し、試料・情報のバイオバンク横断検索システムを構築、運用することで、バイオバンクの生体試料・情報の利活用を促進させている。

- 孤軍奮闘していた3大バイオバンクであるバイオバンク・ジャパン（BBJ）、東北メディカル・メガバンク計画（TMM）、ナショナルセンター・バイオバンクネットワーク（NCBN）に加え、中核的な大学病院である京都大学、東京医科歯科大学、筑波大学、岡山大学の診療機関併設バイオバンクが保有する試料・情報、総計約30万人分に相当する約65万検体の試料や約20万件のゲノム情報等の解析情報の有無を公開し、多機関をまたがり、ワンストップで検索可能になった（令和元年10月）。登録件数は、約400名（令和2年1月末時点）
- 検索後に、試料・情報がスムーズに入手可能にするための「バイオバンク利活用ハンドブック（第1版）」を作成し、試料・情報の利活用を支援している（令和2年3月）







ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業
（ゲノム研究プラットフォーム利活用システム）

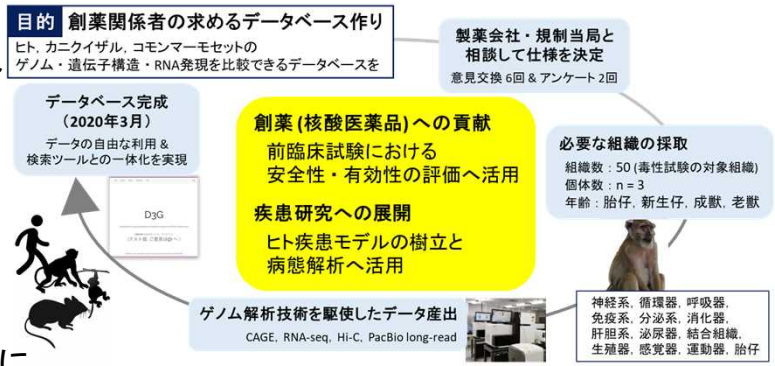
Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑤オーダーメイド・ゲノム医療

令和元年度評価

③ ゲノム創薬研究の推進

➢ **核酸創薬研究基盤の形成に貢献**

本事業では、ヒト、カニクイザル、マーモセットの霊長類三種に発現するRNA全長構造の種間比較可能な核酸創薬研究基盤を形成し、令和元年6月に公開した。



本データベースは国内製薬企業で薬事承認に活用されており、今後の医療分野の進展に寄与することが期待される。（再掲）これにより、効果的な実験動物選択や有効性・安全性評価が可能になり、薬剤の開発に携わる研究者や規制当局の業務が大きく推進されることが期待されている。

➢ **若手人材育成プログラムの推進**

総合的なゲノム医療体制を構築するためには、診療の中で患者と接する看護師、薬剤師、臨床検査技師において、対象疾患に対するゲノム医療に関する知識や技術の取得が必要であり、人材育成として「ゲノム医療に従事するメディカルスタッフを育成するプログラム」を開発した。



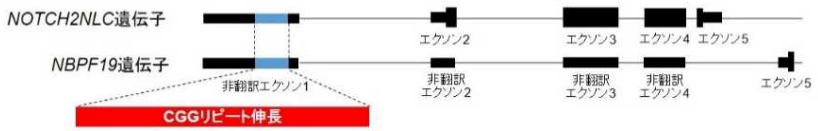
医療従事者向けのテキストを作成し、本年度HP上で公開した。延べ2，000名以上の医療従事者に対し講習会を実施し、社会的ニーズが求められているゲノム医療の底上げに貢献した。医療従事者に対する講習会は今後もクリニカルバイオバンク学会の支援を受けて継続される予定である。

ゲノム創薬基盤推進研究事業

④ 疾患原因となるゲノムの新規同定

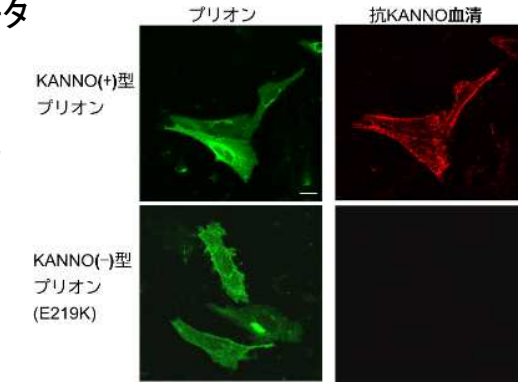
➢ **ロングリードシークエンサーを用いた全ゲノム配列の解析**

世界で初めて長鎖シークケンサー技術が未解決の疾患原因の解明に強力であることを示した。具体的には、ロングリードシークエンサーを用いた全ゲノム配列の解析を行うことで、別々の3疾患（神経核内封入体病・白質脳症を伴う眼咽頭型ミオパチー・眼咽頭遠位型ミオパチー）に共通する原因がヒトゲノムCGG塩基の繰り返し配列の異常伸長であることを解明した。



➢ **血液型抗原の原因変異を同定**

既存技術に独自の解析を加えることで新たな疾患原因を解明できることを明らかにした。具体的には、KANNO抗原という既知の血液型と一致しない血液を持つ人のGWASとWESデータの解析から新たな血液型抗原を同定した。この抗原は意外にもプリオンタンパク質であり、プリオン病抵抗性との関連も注目される。



ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業（先端ゲノム）

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑤オーダーメイド・ゲノム医療

期間実績評価

① 他事業連携による革新的成果の創出、成果の利活用等の新展開

東北メディカル・メガバンク計画成果の展開

TOHOKU MEDICAL MEGABANK ORGANIZATION　jMorp　Japonica Array NEO

IRUD 未診断疾患イニシアチブ Initiative on Rare and Undiagnosed Diseases

4,600例以上の未診断状態の患者のゲノム解析に貢献

・ゲノム創薬基盤推進研究事業やゲノム医療実現推進プラットフォーム事業の研究開発課題においてToMMoのジャポニカアレイデータの活用やジャポニカアレイを用いたジェノタイピングを実施した。
・IRUD全体で4600家系以上の未診断状態の患者のゲノム解析を加速した

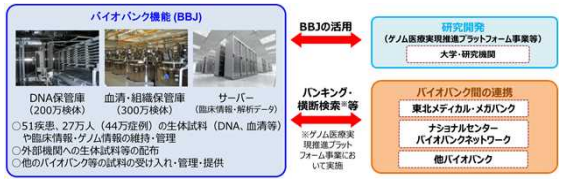
バイオバンク連絡会

・バイオバンク・コホート関係者とアカデミア・企業の利用者が一堂に会した意見交換の場。
・各バイオバンク・コホートの抱える課題の共有と試料利活用を目的に、2019年8月より累計9回開催、延べ約1,000名以上が参加し、バイオバンク間、バイオバンクと利用者間のネットワーキングが形成されてきた。



ゲノム研究バイオバンク事業（旧オーダーメイド医療の実現プログラム）

・バイオバンク・ジャパン（BBJ）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（累計同意取得数：68,516件、DNA採取数：67,334件）
・その成果は、ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業の各研究課題で活用された。



臨床ゲノム情報統合データベース整備事業による医療実装につながる基盤の実現

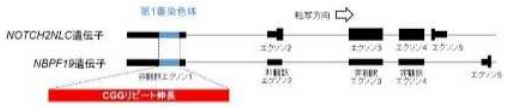
NCCオンコパネル
初のがん遺伝子パネル検査として保険収載

OncoGuide™ NCCオンコパネル システム
承認番号：23000BZX00398000
販売：シスメックス社

変異・増幅を検索する遺伝子（114）					融合を検索する遺伝子（12）
ABL1	CRKL	IDH2	NF1	RAC2	ALK
ACTN4	CREBBP	IGF1R	NFE2L2/Nrf2	RAD51C	AKT2
AKT1	CTNNB1/b-catenin	IGF2	NOTCH1	RAF1/CRAF	BRAF
AKT2	CUL3	IL7R	NOTCH2	RB1	ERBB4
AKT3	DDR2	JAK1	NOTCH3	RET	FGFR2
ALK	EGFR	JAK2	NRAS	RHOA	FGFR3
APC	ENO1	JAK3	NRG1	ROS1	NRG1
ARAF	EP300	KDM6A/UTX	NTRK1	SETBP1	NTRK1
ARID1A	ERBB2/HER2	KEAP1	NTRK2	SETD2	NTRK2
ARID2	ERBB3	KIT	NTRK3	SMAD4	PDGFRA
ATM	ERBB4	KRAS	NT5C2	SMARCA4/BRG1	RET
AXIN1	ESR1/ER	MAP2K1/MEK1	PALB2	SMARCB1	ROS1
AXL	EZH2	MAP2K2/MEK2	PBRM1	SMO	
BAP1	FBXW7	MAP2K4	PDGFRA	STAT3	
BARD1	FGFR1	MAP3K1	PDGFRB	STK11/LKB1	
BCL2L11/BIM	FGFR2	MAP3K4	PIK3CA	TP53	
BRAF	FGFR3	MDM2	PIK3R1	TSC1	
BRCA1	FGFR4	MDM4	PIK3R2	VHL	
BRCA2	FLT3	MET	POLD1		
CCND1	GNA11	MLH1	POLE		
CD274/PD-L1	GNAQ	MTOR	PRKCI		
CDK4	GNAS	MSH2	PTCH1		
CDKN2A	HRAS	MYC	PTEN		
CHEK2	IDH1	MYCN	RAC1		

ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業による疾患のゲノム医療実現を目指した研究開発

ロングロードシークエンス解析技術開発





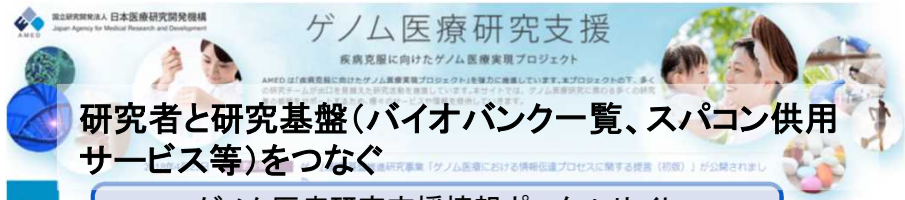
希少・難病の遺伝子診断に応用が実現

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

ゲノム情報を用いた医療の実現に向け、研究成果に紐付くゲノムデータ、及び臨床情報や解析・解釈結果等を含めたゲノム情報の、迅速、広範かつ適切な共有・公開を行うことを目的に策定し、成果の利活用の新展開を促す基盤を整備した。

ゲノム医療実現のためのデータシェアリングポリシー
https://www.amed.go.jp/content/000051323.pdf

ゲノム医療研究支援



研究者と研究基盤（バイオバンク一覧、スパコン供用サービス等）をつなぐ

ゲノム医療研究支援情報ポータルサイト
https://www.amed.go.jp/site/biobank/index.html

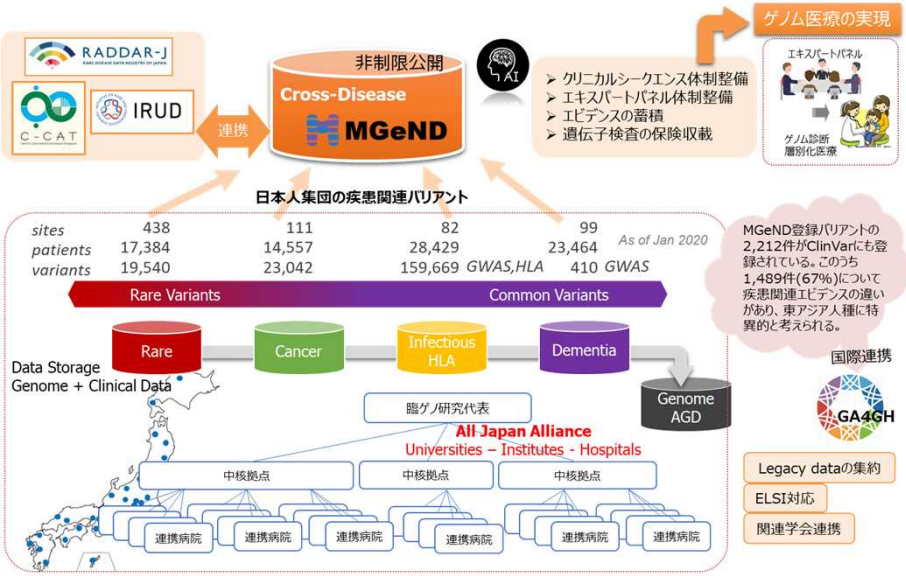
Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑤オーダーメイド・ゲノム医療

期間実績評価

② 世界に例のない新規データベースの整備やデータ拡充

臨床ゲノム情報統合データベース(MGeND)を構築

- 「臨床ゲノム情報統合データベース整備事業」では、**日本人集団の疾患感関連バリアントを共有**しゲノム医療の実践を可能とする**臨床ゲノム情報統合データベース(MGeND)を構築**し、平成30年3月に非制限公開を開始した。8.4万症例の解析を行い、GWASを含めて約20万件の変異データを集積した。
  さらにデータ収集体制の拡充のため遺伝子検査、学会、他事業との連携を整備した。
- MGeND 登録バリアントの200件あまりが ClinVar にも登録されているが、このうち **67%** については、疾患関連エビデンスの違い(**日本人集団の特異性**)があることを明らかにした。



バイオバンクの構築に向けた健常人の生体試料・健康情報等の収集

- 「東北メディカル・メガバンク計画」では、同意に基づいて**宮城県・岩手県の住民から生体試料及び健康情報(調査票)を収集**するコホート調査を行い、これら試料・情報を広く全国の研究者の医学研究への利活用のために提供するバイオバンクを構築した。当初目標**15万人規模**の研究参加者リクルートを計画通り完了した。
- 世界に先駆けて実施している妊婦とその子供・家族をリクルートする大規模**三世代コホート調査は、累計数が7.3万人**を達成。
- 幼少期、学童期、成人、高齢期など散在しているライフコースデータ蓄積するため、省庁、自治体、県、学校・医療機関に働きかけて情報収集する等、個人レベルのデータリンケージに先んじて取り組んだ。



患者のバイオバンクの構築

- 「ゲノム研究バイオバンク事業」は、旧事業である「オーダーメイド医療の実現プログラム」において、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及び臨床情報収集に取り組んだ(累計同意取得数:68,516件、DNA採取数:67,334件)。
- 試料・情報の利活用を促進するため、広報活動を実施(学会出展等:12件、説明会等:8件)したほか、令和元年度より、バンク試料の活用幅を広げるため、血清パネルの配布を開始した。

ゲノム医療研究のための基盤構築と提供

- **全ゲノムリファレンスパネルを段階的に拡充し、4.7KJPNを新たに公開**した(令和元年9月)。
- **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の公開した。**
- 6万7千人分の地域住民コホート調査参加者の試料・情報や、三世代コホート調査参加者のヘプタファミリーの試料・情報について分譲を開始し、広く全国の研究者が利用可能となり、個別化予防・医療の加速に貢献した(令和元年度)。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑤オーダーメイド・ゲノム医療

令和元年度評価 | 期間実績評価

＜成果目標達成状況＞

KPI【2020年までの達成状況】	① 令和2年3月迄の累積達成状況	② ①のうち、令和元年度の達成状況
糖尿病などに関するリスク予測や予防、診断（層別化）や治療、薬剤の選択・最適化等に係るエビデンスの創出	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。 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。 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。 さらに、令和元年度においては、ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業において、日本人集団の2型糖尿病に関わる新たな28の遺伝子領域を同定した。また、ゲノム創薬基盤推進研究事業において、効果的･効率的でより安全な薬剤を選択できるように、ファーマコゲノミクスに基づく患者の薬剤応答などを簡便に確認するための検査法の開発及び実証研究を開始した。	ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業において、20万人規模の日本人集団の遺伝情報を用いた大規模ゲノムワイド関連解析を行い、令和元年度には、2型糖尿病の発症に関わる遺伝子領域を新たに28同定し、日本人と欧米人では異なる仕組みが2型糖尿病の発症に関わることを見出した。更に、2型糖尿病の重症化症例について全ゲノム解析を実施した結果、オッズ比2~4の強い効果を持つ遺伝因子の同定に成功した。これらの遺伝因子を利用した重症化予測法の開発を進めている。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑤オーダーメイド・ゲノム医療

令和元年度評価 | 期間実績評価

＜成果目標達成状況＞

KPI【2020年までの達成状況】	① 令和2年3月迄の累積達成状況	② ①のうち、令和元年度の達成状況
発がん予測診断、抗がん剤等の治療反応性や副作用の予測診断に係る臨床研究の開始	・臨床ゲノム情報統合データベース整備事業において、昨年度先進医療Bを経てコンビネーション医療機器として製造販売承認を取得した「NCCオンコパネル」は、日本人のがんゲノム変異の特徴を踏まえた遺伝子パネル検査として今年度、保険収載された。また、クリニカルシークエンスで得られたバリアントの臨床的意義付け作業を効率化するため開発された、AI技術を活用した支援システムは、東京大学医科学研究所および愛知県がんセンターにおいて、がんゲノム医療の現場に実装された。さらには、電子カルテにおける抗がん剤治療に関するデータをデータベース化する「サイバーオンコロジー®」という技術を、異なる電子カルテのデータも統合できるシステムに発展させた成果は、京大とNTTにより事業化（「新医療リアルワールドデータ研究機構株式会社」を設立）された。 ・ゲノム創薬基盤推進研究事業において、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月に発売を開始した。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。また、ゲノム創薬基盤推進研究事業において、①遺伝子情報と薬物効果及び有害反応等の臨床情報に基づくファーマコゲノミクス研究により効果・効率的な薬物投与を実現する基盤研究、②遺伝子変異・多型（遺伝子型）と疾患の発症（表現型）との関連についての臨床的解釈の推進を図るために遺伝性疾患のゲノム解析で得られたVUSへの機能的アノテーションに資する基盤研究を令和元年度より開始した。 ・オーダーメイド医療の実現プログラムにおいて、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」に貢献することが期待できる。	臨床ゲノム情報統合データベース整備事業において、昨年度先進医療Bを経てコンビネーション医療機器として製造販売承認を取得した「NCCオンコパネル」は、日本人のがんゲノム変異の特徴を踏まえた遺伝子パネル検査として今年度、保険収載された。 （再掲）クリニカルシークエンスで得られたバリアントの臨床的意義付け作業を効率化するため開発された、AI技術を活用した支援システムは、東京大学医科学研究所および愛知県がんセンターにおいて、がんゲノム医療の現場に実装された。さらに、電子カルテにおける抗がん剤治療に関するデータをデータベース化する「サイバーオンコロジー®」という技術を、異なる電子カルテのデータも統合できるシステムに発展させた成果は、京大とNTTにより事業化（「新医療リアルワールドデータ研究機構株式会社」を設立）された。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑤オーダーメイド・ゲノム医療

令和元年度評価 | 期間実績評価

＜成果目標達成状況＞

KPI【2020年までの達成状況】	① 令和2年3月迄の累積達成状況	② ①のうち、令和元年度の達成状況
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」において、難聴領域においては、ACMGガイドライン改訂に基づくClinGen の新しい病原性判断基準に準拠した形で病原性判定を行うことができるようデータストレージのシステム改変を行うとともに、格納されている約10,000変異について再アノテーションを実施してMGeNDに登録した。	臨床ゲノム情報統合データベース整備事業において、難聴領域においては、ACMGガイドライン改訂に基づくClinGenの新しい病原性判断基準に準拠した形で病原性判定を行うことができるようデータストレージのシステム改変を行うとともに、格納されている約10,000変異について再アノテーションを実施してMGeNDに登録した。
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」において、希少・難病疾患に対し、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、臨床研究開始に貢献した。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。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。	ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業において、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、神経細胞死抑制効果を示す新規抗パーキンソン病薬を見出した。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑤オーダーメイド・ゲノム医療

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

令和元年度評価

■健常者のバイオバンクの構築とこれを活用した日本人標準ゲノム配列の特定（東北メディカル・メガバンク計画）
・バイオバンクの構築に向けた健常者の生体試料・健康情報等の収集や、遠隔セキュリティエリアの拡充を行い、スパコンの利活用を促進するなど、ゲノム医療研究のための基盤構築と提供を着実に進めた。
・全ゲノムリファレンスパネルの拡充を進めるとともに、全ゲノム解析に基づくアレイ頻度パネル（4.7KJPN）を公開。さらには、iPGMを用い、他コホート調査等と連携し、個別化医療・予防の有用性の検討などに貢献した。
・未診断疾患イニシアチブ（IRUD）診療体制と連携し、東北メディカル・メガバンク機構の提供する健常人全ゲノムリファレンスパネルの活用等により、IRUD全体で累計4600家系以上の未診断状態の患者のゲノム解析に貢献した。

■患者のバイオバンクの構築（ゲノム研究バイオバンク事業）
・バイオバンクジャパンの試料・情報の利活用を促進するため、研究者や企業に対し広報活動を行った。・バンク試料の活用幅を広げるため、血清パネルの配布開始した。さらに、バイオバンク横断検索システム」との連携などの取組を進めたことにより、配布実績は、これまでの実績を上回った。（DNA14,146件、血清1,274件、臨床情報・ゲノム情報363,633件、検索システム利用833件）

■バイオバンク機能等を活用した疾患関連遺伝子・薬剤関連遺伝子の同定等に関する研究の推進（ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業）
・ロングリードシークエンサーを用いた全ゲノム配列の解析や血液型抗原の原因変異を同定するなど、今まで発見できていなかった疾患原因を同定した。

期間実績評価

■健常者のバイオバンクの構築とこれを活用した日本人基準ゲノム配列の特定（東北メディカル・メガバンク計画）
・平成28年度末までに15万人規模（当初目標）の研究参加者のリクルートは計画通りに完了した。
さらに、平成29年からは、追跡・詳細二次調査を開始し、令和元年度末までに、宮城県で約6万人、岩手県で約2万人の二次調査を完了。また、試料・情報分譲については、令和元年度末時点の累計で、分譲32件、共同研究138件、商用利用2件が承認されており、バイオバンクの構築に向けた健常者の生体試料・健康情報等の収集およびゲノム医療研究のための基盤構築と提供を着実に進めた。
・令和元年度末までに累積で約12 万人のジャポニカアレイ解析を進めるとともに、平行してインピュテーションによる疑似全ゲノム復元受託を全国の研究者を対象に行った。平成30年度には、「日本人基準ゲノム配列」初版JG1を公開し、日本人全ゲノムリファレンスパネルのさらなる精度向上、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を大きく進展させる基盤を構築した。（再掲）

■患者のバイオバンクの構築（オーダーメイド医療の実現プログラム）
・平成25年度から平成29年度末までに、12医療機関の協力を得て、38疾患について患者よりDNA及び臨床情報を収集し、バイオバンクの利活用促進に貢献した（累計同意取得数：68,516件、DNA採取数：67,334件）
・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の講習会を開催し、品質管理に向けた取組を推進した。
・平成30年度に新たに開始したゲノム研究バイオバンク事業により、試料・情報の利活用促進に繋がる取組を継続して行った。

■バイオバンク機能等を活用した疾患関連遺伝子・薬剤関連遺伝子の同定等に関する研究の推進（ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業）
・家族性ミオクローヌスてんかん罹患者の疾患原因遺伝子、2型糖尿病に関わる日本人に特有の変異等の同定（平成30年度）や、ロングリードシークエンサーを用いた全ゲノム配列の解析や血液型抗原の原因変異を同定（令和元年度）など、今まで未発見の疾患原因の同定等に貢献した。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑤オーダーメイド・ゲノム医療

評価軸

・共同研究やゲノム付随研究等の実施により、難治性・希少性疾患等の原因遺伝子の探索を図ったか。
・ゲノム情報をいかした革新的診断治療ガイドラインの策定に資する研究を推進したか。

令和元年度評価

■難治性・希少性疾患等の原因遺伝子の探索（臨床ゲノム情報統合データベース整備事業）
・クリニカルシークエンスや学会、ナショナルセンターが所有するレガシーデータ、他事業、および一次班の未整理データを集約。さらには、他事業の成果をMGeNDに登録する体制を整備した。
・MGeND登録バリアントの2,212件（ClinVarに登録済みのバリアント数）のうち、1,489件(67%)については、疾患関連エビデンスの違い（日本人集団の特異性）があることを明らかにした。

■革新的診断治療ガイドラインの策定に資する研究の推進
・がん領域で開発した「NCCオンコパネル」が保険収載された。（臨床ゲノム情報統合データベース整備事業）
・クリニカルシークエンスで得られたバリアントの臨床的意義付け作業を効率化するため開発された、AI技術を活用した支援システムは、東京大学医科学研究所および愛知県がんセンターにおいて、がんゲノム医療の現場に実装された。（臨床ゲノム情報統合データベース整備事業）
・電子カルテにおける抗がん剤治療に関するデータをデータベース化する「サイバーオンコロジー®」という技術を、異なる電子カルテのデータも統合できるシステムに発展させた成果は、京都大学とNTTにより事業化された。（臨床ゲノム情報統合データベース整備事業）
・ヒトPre-mRNA／mRNA及びDNAデータベースであるD3Gに、非ヒト霊長類のpre-mRNA/mRNAデータを加えたデータベースを公開した。（ゲノム創薬基盤推進研究事業）

期間実績評価

■難治性・希少性疾患等の原因遺伝子の探索
・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、バリアント頻度情報の提供を継続して行った。IRUD全体で4600例以上の未診断状態の患者のゲノム解析に貢献した。（東北メディカル・メガバンク計画）
・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整備や、他事業と連携し、MGeNDへの登録体制の充実に取組んだ。（臨床ゲノム情報統合データベース整備事業）

■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
・難聴領域で開発した「若年発症型両側性感音難聴の遺伝学的検査」や、がん領域で開発した「NCCオンコパネル」が保険収載された。また、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、その他希少・難治疾患の新たな疾原因遺伝子の同定など、探索を図るに留まらずゲノム診断の社会実装に貢献している。（臨床ゲノム情報統合データベース整備事業）
・がんゲノム情報の集約・管理・利活用を図るための「がんゲノム情報レポジトリー」、および同定された変異意義付けの際の基礎情報となる「がんゲノム知識データベース」の構築実績は、「がんゲノム情報管理センター」に繋がった。（臨床ゲノム情報統合データベース整備事業）
・「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。（ゲノム創薬基盤推進研究事業）

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑤オーダーメイド・ゲノム医療

評価軸 ゲノム医療実現に向けた研究基盤の整備やゲノム医療提供体制の構築を図るための試行的･実証的な臨床研究を推進したか。

令和元年度評価

■ゲノム医療提供体制の構築に向けた研究の推進（ゲノム創薬基盤推進研究事業）
・遺伝子関連検査を実施する臨床検査室の客観性と信頼性を確保するために「遺伝子関連検査のためのISO15189ガイダンス文書」を発行した。また、バイオバンクの生体試料の管理においても同様に管理体制の比較可能性を確保するためにバイオバンク自己点検表を作成し公表した。
・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。さらには、研修会を実施し、延べ2，000名以上の医療従事者に対し講習会を実施した。
・既存データを活用したヒトPre-mRNA／mRNA及びDNAデータベースであるD3Gに、非ヒト霊長類のpre-mRNA/mRNAデータを加えたデータベースを公開した。（再掲）

■網羅的生態情報を活用したゲノム診断・ゲノム医療に資する研究（ゲノム創薬基盤推進研究事業）
・臨床ゲノム統合データベース整備事業の成果である、MGeNDで収集されたゲノム情報等を創薬等へ利活用するために、ゲノム創薬基盤推進研究事業において、ファーマコゲノミクスにより効果的・効率的薬剤投与を実現する基盤研究、ならびに、遺伝性疾患のゲノム解析で得られたVUSへの機能的アノテーションに資する基盤研究を各2課題採択し、研究開発支援を開始した。

期間実績評価

■ゲノム医療提供体制の構築に向けた研究の推進（ゲノム創薬基盤推進研究事業）
・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）を開発。世界で初めて体外診断用医薬品として製造販売承認を取得し、発売し、保険収載され、保険適応となった（平成30年度）。
・バイオバンク国際標準規格ISO20387を発行（平成30年度）するなど、ゲノム医療に係るバイオバンクの検査の品質・精度を確保する取組を推進した。
・患者やその家族等に対して必要とされる説明事項や留意事項を明確化するための「ゲノム医療における情報伝達プロセスに関する提言」や既存データを活用したヒトPre-mRNA／mRNA及びDNAデータベースであるD3Gを公開した（平成30年度）。さらに、D3Gに、非ヒト霊長類のpre-mRNA/mRNAデータを加えたデータベース（α版）を公開するなど、今後の研究開発支援の推進に貢献する取組を行った（令和元年度）（再掲）。
・ゲノム医療に関わる医療職種向けのテキストを作成・HP上で公開し、延べ2，000名以上の医療従事者に対し講習会を実施した。さらにはデータサイエンティストの知識や技能の底上げのための短期集中研修を実施する（平成29年度～令和元年度間）など、ゲノム医療従事者の養成を推進した（再掲）。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑥疾患に対応した研究〈がん〉

令和元年度評価

評定（自己評価）	
A	PD/PS/POを中心にジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト全体の一体的運用により、①液体のりの主成分を利用してホウ素中性子捕捉療法の効果を劇的に向上、世界規模の国際ネットワークによるがん種横断的全ゲノム解析プロジェクトに参画しヒトがんゲノム全体像の解明、再発・難治性ALK陽性未分化大細胞リンパ腫に対するALK阻害剤の薬事承認取得など、顕著な研究成果を挙げた。②事業の枠を超え次世代がん・革新がん両サポート機関の連携強化、延長制度導入などで有望な研究成果を次のステージにつないで実用化加速、課題紹介リーフレット集配布を通じて企業導出を促進、③早期診断バイオマーカー実用化の日米研究協力体制構築、異分野交流若手ワークショップや海外短期研修等への派遣を通じて国際的に活躍できる若手研究者育成を推進した。さらに、④KPI目標値を超える治験導出を実現するなど、所期の目標を大きく上まわった。以上より、「研究開発成果の最大化」に向けて顕著な成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められる。

①がん研究における顕著な研究成果事例

PD/PS/POを中心にジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト全体の一体的運用により以下の顕著な成果が得られた。

①-1「スライムの化学」を利用した第5のがん治療法 ～液体のりの主成分でホウ素中性子捕捉療法の効果を劇的に向上～

①-2 世界規模の国際ネットワークによる最大のがん種横断的全ゲノム解読 ～日本人症例での解析を進めることで日本人に最適な臨床開発への発展を期待～

①-3 ALK阻害剤アレクチニブが再発・難治性ALK陽性未分化大細胞リンパ腫に対し薬事承認を取得

②がんプロジェクトの一体運営と事業運用改善

②-1 次世代がん事業と革新がん事業のサポート機関による研究倫理研修の合同開催等で、事業の枠を超えた一元的管理に向けて連携を強化、基礎研究から実用化まで一貫してつなぐマネジメントを実現する基盤を構築。

②-2 研究期間延長制度導入や進捗の優れた研究課題を事業内・事業間で次のステージへ進める仕組等により、シームレスな研究支援を可能とし、有望な研究成果をスムーズにつないで実用化を加速。

②-3 サポート機関による膵がん関連課題の現状分析を踏まえ、事業を超えた連携や効果的な支援の在り方について議論する場の設置を検討。

②-4 研究課題紹介リーフレット集の企業向け配布やBioJapan2019出展などを通じ、産業界への積極的な情報発信により、研究成果の企業導出を促進。

③国際連携、異分野交流、人材育成

③-1 米国NCIと早期診断バイオマーカーの第7回合同WSを開催、日米研究協力の課題克服に向け検討。国際がんゲノムコンソーシアムICGC-ARGOへ参画開始。ICRP加盟国間で会員専用ホットラインを通じた情報共有を開始。

③-2 人工知能をテーマにした若手研究者ワークショップを開催、他疾患領域事業からの参加者も加えて、若手研究者の異分野交流を促進。

③-3 国際的に活躍できる若手研究者育成のため、海外研修支援プロジェクトでは研究者ニーズに柔軟に対応すべく派遣期間を設定、派遣人数増員など、更に制度充実。若手研究者枠13名を採択し、継続的な若手育成を推進。

④成果目標達成状況（評価指標）

④-1 KPI目標値を大きく超える治験導出を実現。

2020年までの達成目標	R1年度の達成状況
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	1種達成
小児がん、難治性がん、希少がん等に関して、未承認薬・適応外薬を含む治療薬の実用化に向けた12種類以上の治験への導出	5種達成
小児がん、希少がん等の治療薬に関して1種類以上の薬事承認・効能追加	1種達成
いわゆるドラッグ・ラグ、デバイス・ラグの解消	解消に寄与
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）	2件達成

④-2 次世代がん事業で得られた有望な研究成果5件（平成30年度実績6件）が革新がん事業の支援につながった。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑥疾患に対応した研究〈がん〉

期間実績評価

評定（自己評価）
A

PD/PS/POを中心にプロジェクト全体の一体的運用により、がん研究10か年戦略に対応する研究を推進し、①固形がんに有効な新規CAR-T細胞の開発、日本初のがん治療ウイルス薬の製造販売承認申請に着手、膵がん早期診断バイオマーカーの企業導出など、顕著な研究成果を挙げ、②がんゲノム医療実用化を後押しする研究開発の推進と機構内外の連携促進、サポート機関設置と事業の枠を超えた連携により基礎から実用化まで一貫したマネジメントの基盤整備、AMEDのマネジメントによる事業内・事業間のスムーズな課題移行を実現、③国際協力体制構築、研究成果の企業導出促進、国際的に活躍できる若手研究者育成を推進。さらに、④2020年までの成果目標のすべてを期限内に達成し、所期の目標を大きく上まわるとともに、次世代がん事業の有望な成果44件を革新がん事業につなげた。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。

	H27	H28	H29	H30	R1	見込	期間
自己評価	A	A	A	A	A	A	A
主務大臣評価	A	A	A	A		A	

①がん研究における顕著な研究成果事例

PD/PS/POを中心にジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト全体の一体的運用により以下の顕著な成果が得られた。

①-1 固形がんに対して極めて治療効果の高い免疫機能調整型次世代キメラ抗原受容体発現T細胞『Prime CAR-T細胞』の開発

①-2 脳腫瘍に対するウイルス療法の医師主導治験で高い治療効果を確認 ～日本初のがん治療ウイルス薬の製造販売承認申請へ～

①-3 膵がん早期診断の血液バイオマーカーを発見 ～検査キットの開発にも成功、膵がん検診への実用化を目指す～

②がんプロジェクトの一体運営と事業運用改善

②-1 ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクトとして事業の枠を超えて、PD/PS/PO会議や市民向け成果報告会等を一体的に運用。次世代がん・革新がんの両事業でサポート機関を設置、一元的管理により基礎から実用化まで一貫した研究開発マネジメントの実現に向けた基盤を構築するとともに、次世代がん事業でタイムリーな技術支援を実施。

②-2 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各省の枠を超えスムーズな課題移行を実現。

②-3 がんゲノム医療の実用化を後押しすべく、がん研究課が関係各省やAMED内をとりまとめて、省庁AMED連絡会議を立ち上げ、濃密な縦横連携体制を構築することで、組織や部署間の効果的な情報共有や役割分担を実現。

③国際連携、異分野交流、人材育成

③-1 米国NCIと早期診断バイオマーカー研究に関するWSを5回合同開催し、日米研究者交流や研究協力促進。がん研究費配分機関の多国間協力組織ICRPへの加盟や、国際がんゲノムコンソーシアムICGCへの参画を推進。

③-2 若手WSを5回開催、若手研究者166名参加。若手研究者29名海外派遣。若手研究者育成枠101名、若手リサーチレジデント83名採択し若手育成。

③-3 企業向けに課題紹介リーフレット集配布や成果報告会2回開催で企業導出促進。市民向け成果報告会4回開催で社会の理解増進。

④成果目標達成状況（評価指標）

④-1 2020年までのすべての目標を期限内に達成。

2020年までの達成目標	2020年3月時点
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	15種達成済み
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	31種達成済み
小児がん、希少がん等の治療薬に関して1種類以上の薬事承認・効能追加	1種達成済み
いわゆるドラッグ・ラグ、デバイス・ラグの解消	解消に寄与
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）	3件達成済み

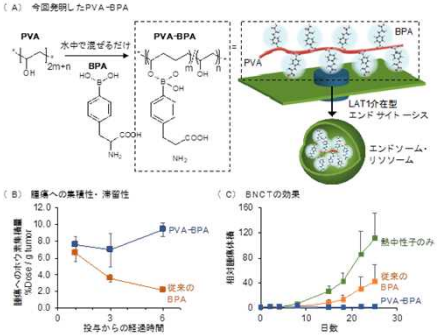
④-2 文科省事業（P-DIRECT, P-CREATE）の有望な成果44件が、厚労省事業（革新がん）に採択され、次のフェーズの支援につながった。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑥疾患に対応した研究〈がん〉

令和元年度評価

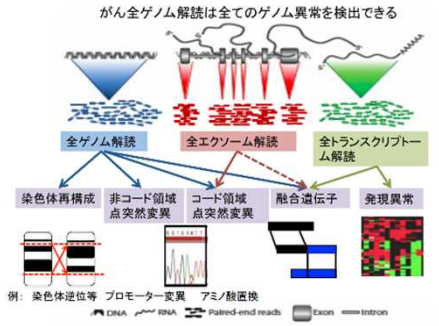
①がん研究における顕著な研究成果事例

①-1「スライムの化学」を利用した第5のがん治療法 ～液体のりの主成分でホウ素中性子捕捉療法の効果を劇的に向上～



- スライムの合成に用いられる化学反応を利用して、中性子捕捉療法でがん細胞の殺傷に用いられるホウ素化合物に、液体のりの主成分であるポリビニルアルコールを結合させたところ、がん細胞に効率よく取り込まれ、その滞留性を大きく向上できることを発見するとともに、マウスの皮下腫瘍に対して根治に近い治療効果が得られることが示された。
- スライムを作るように容易な製造方法で顕著な治療効果の向上が得られることから実用性に優れ、企業の協力のもと実用化に向けた検討が進められており、従来の方法では治療困難ながん種に対する革新的治療法として臨床応用が期待される。

①-2 世界規模の国際ネットワークによる最大のがん種横断的全ゲノム解読～日本人症例での解析を進めることで日本人に最適な臨床開発への発展を期待～



- 国際がんゲノムコンソーシアムICGCが主導するがん種横断的な全ゲノム解析プロジェクトに参画し、38種類のがん種、2,658症例という過去に例のない巨大ながん全ゲノム解読データの統合解析によって、ヒトゲノムの約99%を占める非遺伝子領域における新たな異常、突然変異や染色体構造異常に見られる特徴的なパターンの解明など、ヒトがんゲノムの多様な全体像の詳細が明らかにされた。
- ヒトがんゲノムの全貌解明による新たな診断法・治療法の開発や、現在のゲノム医療で用いられている遺伝子パネルの追加・更新、日本人に多い症例の大規模全ゲノム解析による日本人に最適な臨床開発への展開など、成果の幅広い応用が今後期待される。

①-3 ALK阻害剤アレクチニブが再発・難治性ALK陽性未分化大細胞リンパ腫に対し薬事承認を取得

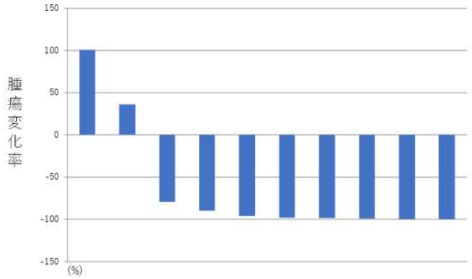


図 アレクチニブ投与による個々の症例における腫瘍量の変化
各バーが一症例を表します。全10例中8例に奏効を認めました。

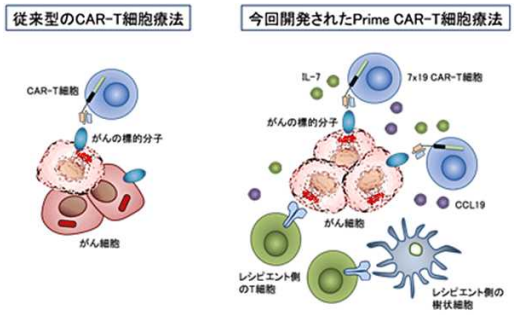
- 希少疾患である再発・難治性のALK陽性未分化大細胞リンパ腫に対する、標準的な化学療法に代わる分子標的療法として、ALK阻害剤アレクチニブの有効性と安全性を評価する医師主導治験を実施。10例中8例で奏効が認められ、そのうち6例は完全奏効が得られるなど高い有効性が確認され、アレクチニブの再発・難治性ALK陽性未分化大細胞リンパ腫患者に対する効能・効果追加が薬事承認された。
- ALK阻害剤がALK陽性未分化大細胞リンパ腫に保険適用されるのは世界初であり、標準的な治療法が確立されていなかった再発・難治症例ALK陽性未分化大細胞リンパ腫に対して、有望な治療選択が増えたことは、本疾患における今後の治療に大きく寄与することが期待される。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑥疾患に対応した研究〈がん〉

期間実績評価

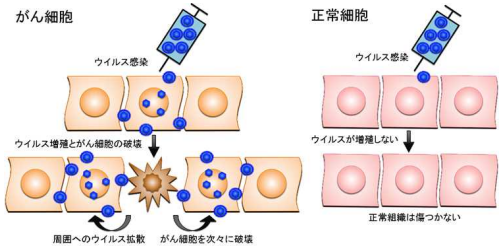
①がん研究における顕著な研究成果事例

①-1 固形がんに対して極めて治療効果の高い免疫機能調整型次世代キメラ抗原受容体発現T細胞「Prime CAR-T細胞」の開発



- キメラ抗原受容体発現T細胞（CAR-T細胞）療法は、血液がんに著明な治療効果を発揮する一方で、固形がんに対して治療効果が得られないという課題を解決するため、免疫機能をコントロールする能力を付与した次世代型のPrime CAR-T細胞を開発し、従来のCAR-T細胞では効果の得られなかったマウス固形がんモデルに対して強力な治療効果を発揮することが示された。
- 臨床試験に向けて、ヒトの腫瘍特異的分子を標的とするとともに、生体から排除可能なシステムを組み入れたPrime CAR-T細胞の製造を行い、非臨床薬効データを取得しており、画期的ながん治療法につながることが期待される。

①-2 脳腫瘍に対するウイルス療法の医師主導治験で高い治療効果を確認 ～日本初のがん治療ウイルス薬の製造販売承認申請へ～



- 単純ヘルペスウイルス1型に人工的に3つのウイルス遺伝子改変を導入した第三世代のがん治療用ヘルペスウイルスG47Δを用いた、膠芽腫に対する第Ⅱ相医師主導治験において、中間解析の結果、高い治療効果と安全性が示された。
- 悪性神経膠腫を適応症としたG47Δの製造販売承認申請の準備を行っており、G47Δは厚生労働省の先駆け審査指定品目に指定されているため、先駆け総合評価相談による事前評価の充実かつ優先審査等により審査期間の短縮が見込まれ、製造販売承認申請から6ヶ月後の承認も期待される。

①-3 早期膵がんや前がん病変発見のための早期診断バイオマーカーを開発し、キット化及び企業導出した



- 早期膵がんや前がん病変発見のための早期診断バイオマーカーを開発し、キット化及び企業導出した。神戸大学と埼玉医科大学において、膵疾患と確定診断された患者検体を用いた検証により、実験的膵がん検診から推定される検出感度が良好であったことから本バイオマーカーの有用性が前向きに検証された。
- 今回のバイオマーカーを単独またはCA19-9と組み合わせて検診として用いることで早期膵がんを含む膵がんリスク集団をスクリーニングし、その後の精密な画像検査等で早期に膵がんの診断を行うことができれば、膵がんによる死亡率減少への貢献が期待される。

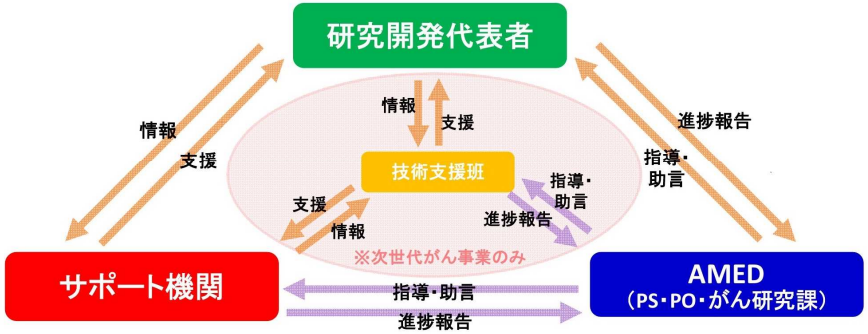
Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑥疾患に対応した研究〈がん〉

令和元年度評価　期間実績評価

② がんプロジェクトの一体運営と事業運用改善

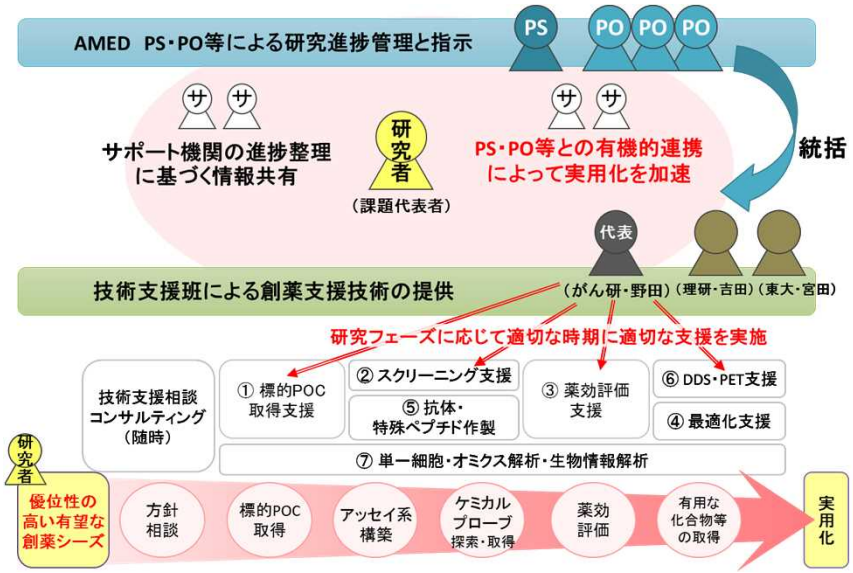
②-1　基礎研究から実用化まで一貫してつなぐマネジメント

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事業と革新がん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（右図）。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。



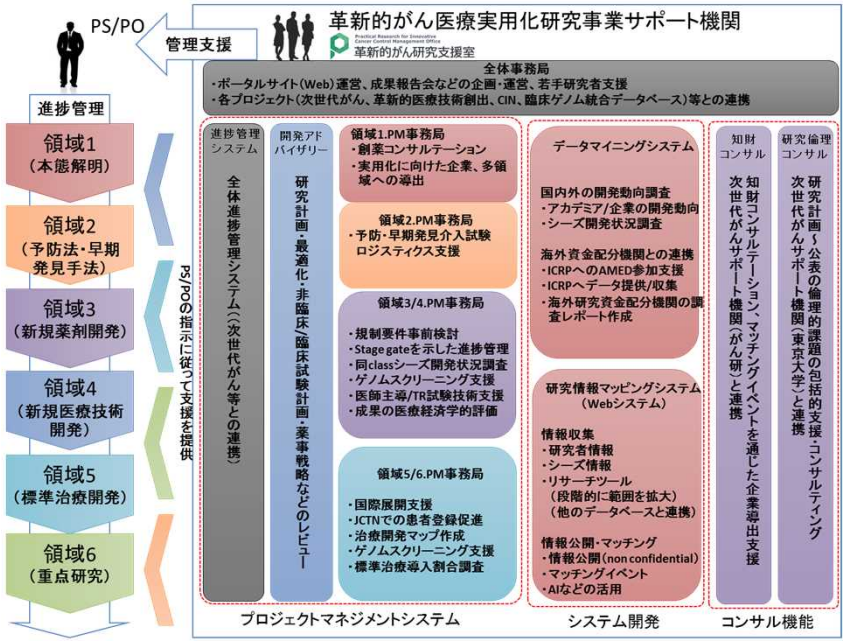
■ 次世代がん事業サポート機関の機能

研究進捗の管理・技術支援班とのマッチング（下図）、ゲノム解析データの管理、知財コンサルテーション、研究倫理コンサルテーション 等



■ 革新がん事業サポート機関の機能

プロジェクトマネジメント、データマイニング、研究情報マッピング、知財コンサルテーション、研究倫理コンサルテーション 等（下図）



Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑥疾患に対応した研究〈がん〉

令和元年度評価　期間実績評価

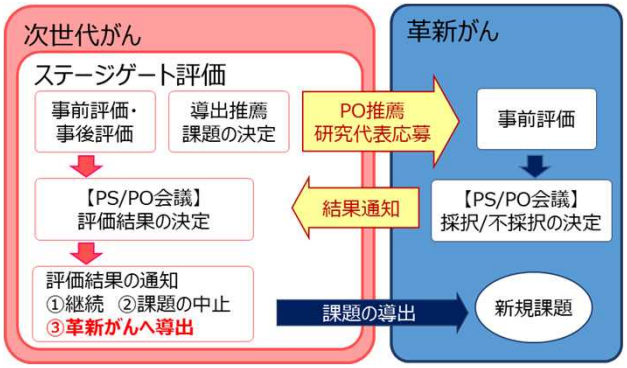
② がんプロジェクトの一体運営と事業運用改善

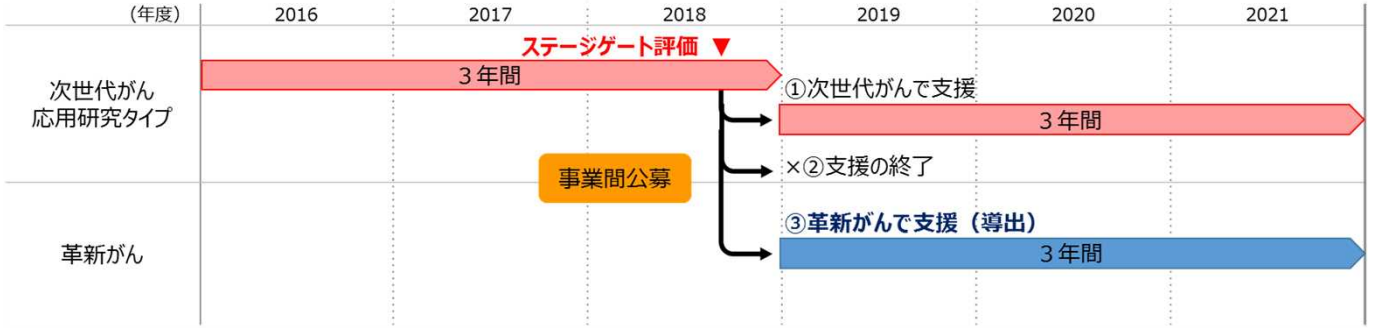
②-2　事業内・事業間のシームレスな研究支援により有望な研究成果の実用化を加速

次世代がん事業では、平成30年度に標的探索研究タイプの特に進捗の優れた課題に対してステージアップ評価を実施。PS/POより推薦された課題を評価委員会で審査し、11課題が応用研究タイプに移行。さらに、令和2年度一次公募では、応用研究の公募枠を新たに設定し、標的探索研究の有望な研究課題の応用研究へのステージアップを可能とすることで、優れた研究成果を次のステージへ移行させる仕組みを継続して確保。

また、応用研究タイプについては、平成30年度にステージゲート評価を実施、進捗の優れた58課題を次のステージへ進めた。そのうち3課題については、次世代がん事業のPO推薦を受け、評価委員会の承認を得た上で、革新がん事業の評価委員会で審査、PS/PO会議を経て令和元年度から革新がん事業に移行して研究を開始し、AMEDのマネジメントによって各省の枠を超えたスムーズな課題移行を実現（下図）。

革新がん事業では、きめ細やかな研究進捗管理に基づき最大2年間研究を継続できる研究期間延長制度を令和元年度から新たに設定し、令和元年度終了予定の122課題のうち8課題に適用して、シームレスな研究支援によって研究成果を次のステージにスムーズにつなげることを可能とし、実用化に向けた研究成果の最大化を図った。





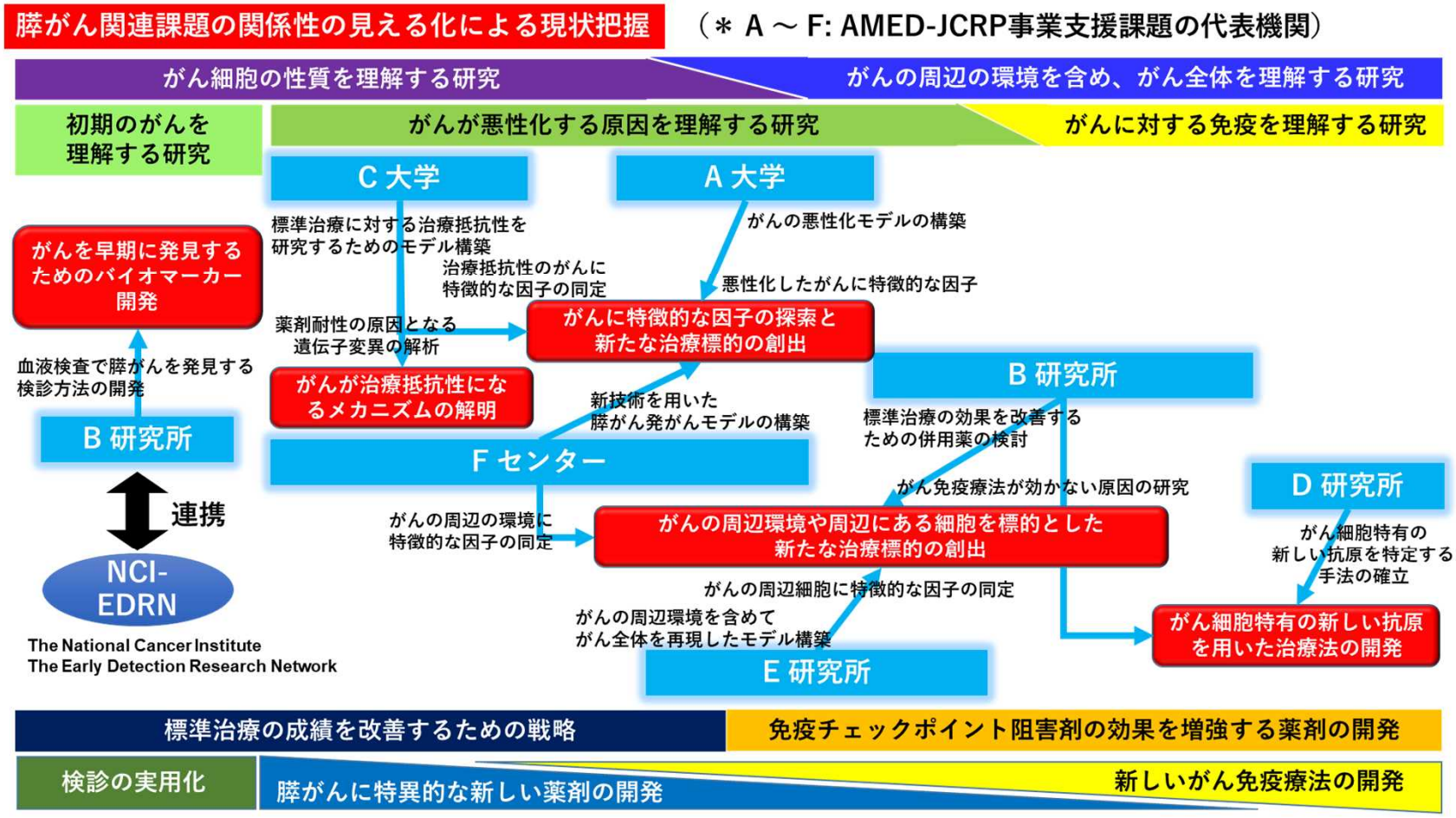
Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑥疾患に対応した研究〈がん〉

令和元年度評価

② がんプロジェクトの一体運営と事業運用改善

②-3 膵がん研究の横断的な議論の場の設置に向けた検討

難治性がん研究を加速するためのモデルケースとして、次世代がん事業と革新的がん事業のサポート機関が協力して、両事業で支援している膵がん関連課題の相互関係を分析した俯瞰図を作成した（下図）。それにより全体像を把握した上で、PD/PS/PO会議において、今後の効果的な支援や連携に向けた検討を行い、事業の枠を超えた横断的な議論の場の設置を進める方針を取り纏めた。



Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑥疾患に対応した研究〈がん〉

令和元年度評価　期間実績評価

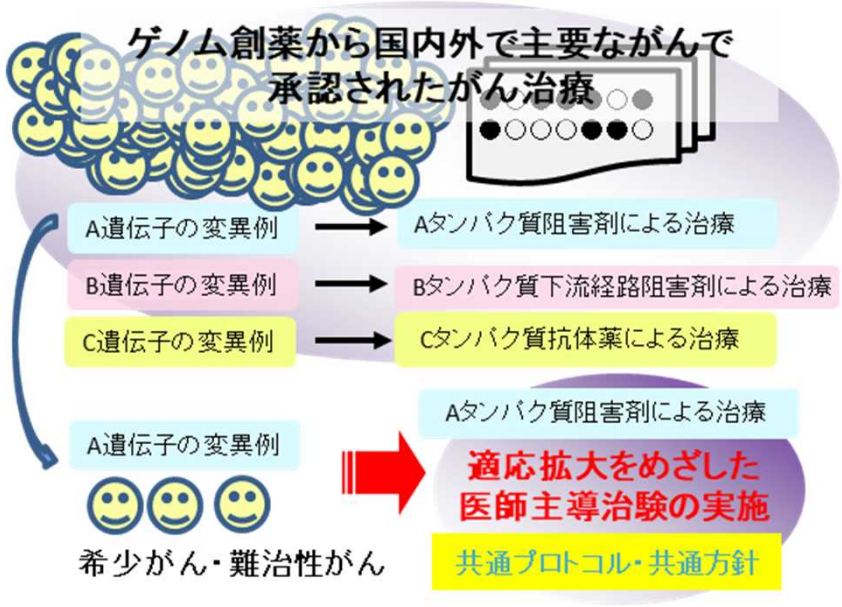
② がんプロジェクトの一体運営と事業運用改善

②-3　がんゲノム医療の実用化に向けた機構内外の連携促進

がんゲノム医療の実用化を後押しすべく、文科省、厚労省など関係各省や、AMEDの難病研究課、基盤研究事業部、臨床研究・治験基盤事業部など、機構内外を巻き込んだAMED省庁連絡会議の立ち上げと運用を、がん研究課が中心となって行い、がんゲノム医療実装に向けたタイムラインや課題の共有、役割分担の明確化などを行った。

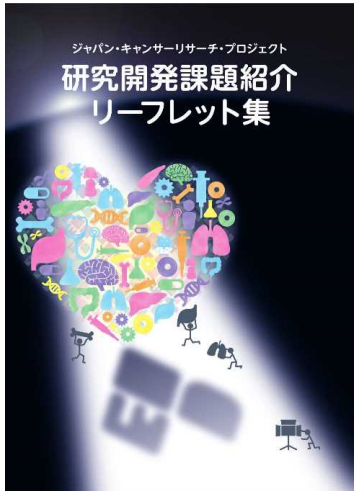
また、平成29年度には、がんゲノム情報をもとに行う医師主導治験の共通プロトコル、共通方針の策定・整備を行う研究や、がんクリニカルシーケンスを運営、管理できるメディカルディレクター、クリニカルシークエンスチームの多職種専門家を育成する研究を推進した。

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、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(右上図)。



②-4　企業向け研究課題紹介リーフレット集の配布による研究成果の企業導出の促進

アカデミアシーズへの企業関係者の理解促進を図ることで研究成果の企業導出を促進するため、次世代がん事業と革新がん事業の研究課題を紹介するリーフレット集を平成30年度と令和元年度に作成(右下図)、BioJapan2019展示ブース来訪者や製薬協や臨薬協等からの案内を通じた登録者など、数十社の企業関係者に配布。配布先への事後アンケートでは、企業関係者のニーズを把握するとともに、企業側の高い関心を確認することができた。また、企業側の要望に応じた研究者との個別面談サポートなど、提携を促す環境を提供するフォローアップも実施した。



Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑥疾患に対応した研究〈がん〉

令和元年度評価　期間実績評価

③ 国際連携、異分野交流、人材育成

③-1 がん研究配分機関どうしの国際連携や国際がんゲノムコンソーシアムへの参画

ICRP（International Cancer Research Partnership）は、米国NCI（National Cancer Institute）主導で2000年に設立された、各国のがん研究費配分機関の多国的協力組織である。ICRP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ICRPに正式メンバーとして加盟。令和元年度からは会員専用のホットライン等を通じて海外の加盟機関とリアルタイムの情報共有を開始した。

また、平成28年度以来、国際がんゲノムコンソーシアムICGC（International Cancer Genome Consortium）の年次総会に参加するとともに、平成29年度からは革新がん事業で支援する研究開発課題を通じてICGCの主要メンバーとして参画してきた。平成30年度より開始した次期プロジェクトICGC-ARGOについても、平成31年4月に参加を表明し、国際的に統一化されたフォーマットのもと、臨床情報の紐付いたがんゲノム情報の登録・共有を開始している。





③-1 がん早期診断バイオマーカー開発のための日米研究協力体制の構築

がん予防の観点から、がんの早期診断のためのバイオマーカー開発に係る研究成果について、日米両国の最新の知見や技術を共有することを目的として、計5回（米国2回、日本国内3回）の国際ワークショップをAMEDと米国NCIの共催で開催し、日米のシーズ交換やシーズ相互評価に向けた研究協力体制の構築について検討を進めた。令和2年1月には、日本国内で第7回のワークショップを開催し、これまで進めてきた協力の成果を踏まえて、今後の国際的な共同研究における課題の克服について、日米の研究者が意見交換を行った。



第3回ワークショップ
平成28年3月開催



第5回ワークショップ
平成30年3月開催



第7回ワークショップ
令和2年1月開催

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑥疾患に対応した研究〈がん〉

令和元年度評価 | 期間実績評価

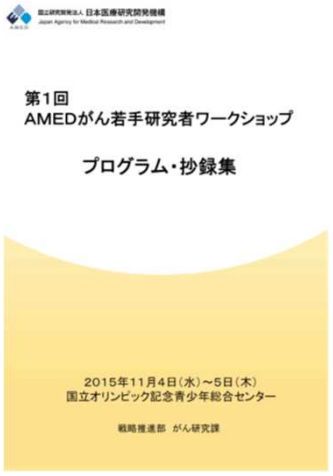
③ 国際連携、異分野交流、人材育成

③-2 若手研究者の登用、若手ワークショップの開催

次世代がん事業と革新がん事業で合わせて101名の若手研究者育成枠の採択を行うとともに、革新がん事業で若手リサーチレジデント83人を採用し、若手人材の登用を推進した。さらに、次世代がん事業、革新的がん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5回開催。戦略的国際脳科学研究推進プログラム（第4回）や再生医療実現拠点ネットワークプログラム（第5回）も加え、のべ166人の若手研究者が参加して、事業の枠を超えて、若手研究者どうしや若手研究者と経験豊かな研究者との間で交流を促進した。令和元年度の第5回ワークショップでは、異分野交流と多角的な視野の養成を目指し、近年注目が集まっている人工知能をテーマに取り上げた。

③-2, -3 国際的に活躍できる若手研究者の育成

国際的に活躍できる若手人材の育成を図るため、書面審査により選抜された若手研究者を海外学会等へ派遣するとともに、平成30年度からは新たに海外研修支援プロジェクトを立ち上げ、書面審査により選抜された若手研究者2名を海外研究機関での短期研修に派遣した。令和元年度は、若手研究者の多様なニーズに柔軟に対応すべく派遣期間ごとに3コースの募集枠を設定するとともに、派遣人数を5名に拡充して最長20日間の派遣を実現するなど、制度の更なる充実に取組んだ。5年間で計29人の若手研究者を海外学会や海外研究機関での研修に派遣し、国際的に活躍できる若手研究者の育成に取組んだ。



第1回平成27年11月



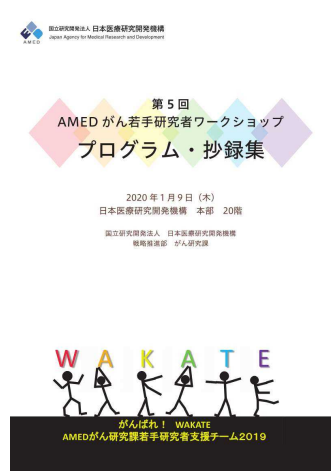
第2回平成28年11月



第3回平成29年12月



第4回平成31年1月



第5回令和2年1月

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑥疾患に対応した研究〈がん〉

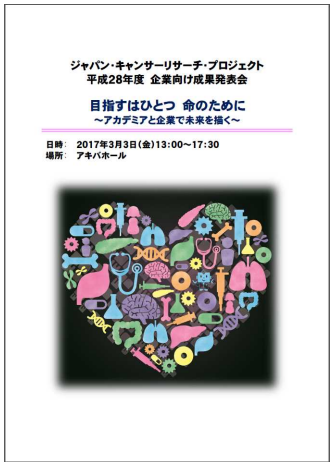
期間実績評価

③ 国際連携、異分野交流、人材育成

③-3人的交流等を通じて企業への成果導出や社会への理解増進を促す取組

研究成果の企業導出を通し実用化を促進するための取組として、製薬協や臨薬協の協力を得て、次世代がん事業及び革新的がん事業の合同で企業向け成果発表会を平成28年度と平成29年度の2回開催し、企業及びアカデミアの双方からの講演を通じて相互理解の促進を図るとともに、リモコンアンケートによる会場と登壇者の双方向のやりとりや、研究者のポスター発表を通じ企業参加者と直接対話の機会を提供する等の工夫を行った。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年度からは研究開発課題を紹介するリーフレット集を作成し、希望する企業関係者に配布する企画を開始、個別に提携を促す環境を提供する取組につなげた。

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、ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト全5事業（文科省、厚労省、経産省所管）の合同企画として市民向けシンポジウムをこれまで計4回開催した。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、PS/POなど有識者が案内する「ポスターツアー」、次世代がん・革新がん両事業のサポート機関の合同で一般市民に活動内容を紹介する取組等々、毎回異なる様々な工夫を通して、がん研究者やAMEDをより身近に感じられるよう努めた。



第1回平成29年3月3日



第2回平成30年3月9日



第1回平成28年3月19日



第2回平成29年3月4日



第3回平成30年3月3日



第4回平成31年2月23日

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑥疾患に対応した研究<がん>

令和元年度評価　期間実績評価

＜成果目標達成状況＞　※Ⅰ(2)①～⑨のみ

【④-1を参照のこと】

KPI【2020年までの達成状況】	① 令和2年3月迄の累積達成状況	② ①のうち、令和元年度の達成状況
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	15種達成	1種達成
小児がん、難治性がん、希少がん等に関して、未承認薬・適応外薬を含む治療薬の実用化に向けた12種類以上の治験への導出	31種達成	5種達成
小児がん、希少がん等の治療薬に関して1種類以上の薬事承認・効能追加	1種達成	1種達成
いわゆるドラッグ・ラグ、デバイス・ラグの解消	希少がん等に関して新規薬剤開発及び未承認薬の適応拡大を目指した臨床試験を実施し、ドラッグ・ラグ、デバイス・ラグの解消に寄与した。	平成29年度に抗悪性腫瘍剤分野に承認申請された新有効成分医薬品に関する米国との申請時期の差の中央値 0.2年（厚生労働科学研究による調査において平成25年度の開発着手ラグ37.5ヶ月）
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）	3件達成	2件達成

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑥疾患に対応した研究〈がん〉

評価軸	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。

令和元年度評価

- 基礎から実用化にスムーズにつなげるため、ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクトのがん関連事業が合同で年3回のPD/PS/PO会議等を開催するなど一体的な運用に取組んだ。(②-1)
- 次世代がん事業と革新がん事業の両事業にサポート機関を設置、基礎研究から実用化へ一貫してつなぐマネジメントを実現するため、研究倫理研修の合同開催などで事業の枠を超えた連携を強化した。(②-1)
- 次世代がん事業中間評価報告書(令和元年6月)を踏まえ、令和2年度一次公募において応用研究の公募枠を新たに設定し、進捗の優れた標的探索研究の課題を応用研究へステージアップさせる仕組みを確保した。(②-2)
- 革新がん事業では、最大2年間の研究期間延長制度を新たに設定、8課題に適用して、シームレスな研究支援によって成果を次のステージにスムーズにつなげることで、実用化に向けた研究成果の最大化を図った。(②-2)
- 革新がん事業では、評価委員に生物統計の専門家を増員し、データサイエンスに係る評価の質向上に取組んだ。

期間実績評価

- 基礎から実用化にスムーズにつなげるため、ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクトのがん関連事業が合同で合計19回のPD/PS/PO会議を開催するなど一体的な運用に取組んだ。(②-1)
- 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。(②-2)
- 次世代がん研究シーズ育成プログラム(P-DIRECT)と、その後継の次世代がん事業(P-CREATE)で支援を受けた研究開発課題の成果44件(うち3件がステージゲート評価による導出)を革新がん事業の支援へつなげた。(④-2)
- 企業での創薬経験者、臨床分野や疫学の専門家等を増員するなど、評価委員の多様性や専門性を高めることで、有望な成果を厳選し、実用化につなげるための評価委員会の質の向上に取組んだ。
- 平成28年12月のがん対策基本法改正を踏まえ、難治性がん・希少がんのバイオマーカー等の早期同定や治療法の早期確立を実現するための新規シーズ探索を新たに取組むべき基礎研究領域として抽出し、研究を推進した。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑥疾患に対応した研究〈がん〉

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

令和元年度評価

- 難治性がん研究を加速するため、膵臓がんをモデルとして、次世代がん・革新がん事業の関連課題に関するサポート機関の俯瞰分析を踏まえ、事業の枠を超えた横断的な議論の場の設置をPDPSPO会議で取り纏めた。(②-3)
- 次世代がん事業では、海外研究機関との連携を盛り込んだ提案を対象とする若手枠公募を設定し、新たに国際レビューアによる査読を導入し3課題を採択して、国際的な連携を活用する研究を開始した。(③-3)
- 「がん研究10か年戦略」の推進に関する報告書(中間評価)に対応するため、革新がん事業令和2年度一次公募で高齢者の特性に適した支持療法や治療法の開発のための臨床試験を公募、高齢者のがんに関する研究を推進した。
- 革新がん事業のゲノム解析に係る研究課題への支援を通じて国際コンソーシアムICGCの次期プロジェクトICGC-ARGOへ参加を開始するとともに、前年度にICRPへ正式加盟したことで、会員専用のホットラインやデータベースを公募策定等の戦略立案に活用すべく、電話会議等を通じて海外の加盟機関との情報共有を開始した。(③-1)
- 米国NCIと合同で難治性がん・希少がんを含むがん早期診断バイオマーカーに関する国際ワークショップを開催し、これまでの成果を踏まえて、国際的な共同研究における課題の克服に向けた意見交換を行った。(③-1)

期間実績評価

- がん関連遺伝子パネル検査の実用化に対応して、AMED内及び関係省庁との連絡会議を定期開催するとともに、革新がん事業では、がんゲノム情報をもとに行う医師主導治験の共通プロトコル、共通方針の策定・整備を行う研究や、がんクリニカルシーケンスを運営、管理できるメディカルディレクター等の専門家を育成する研究を推進した。(②-3)
- がん研究の国際動向を把握し戦略的な資源配分に役立てるためICRPへ正式加盟。米国NCIと合同でがん早期診断バイオマーカーのワークショップを5回開催し、日米のシーズ相互評価に向けた研究協力体制の構築を進めた。国際がんゲノムコンソーシアムICGCへ参画し、がんゲノム国際データシェアリングに貢献した。(③-1)
- 次世代がん研究シーズ育成プログラム(P-DIRECT)では、研究事業の一環としてNBDCにおいて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。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑥疾患に対応した研究〈がん〉

評価軸 臨床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。

令和元年度評価

- サポート機関による進捗整理とそれに基づく技術支援を通じた包括的リバース・トランスレーショナル・リサーチを推進するため、次世代がん・革新がん両事業のサポート機関が倫理講習会の合同開催などで連携を強化した。(②-1)
- 革新がん事業のサポート機関で研究開発マップのがん種拡充、研究情報マッピングの英語文献対応など実施。
- 革新がん事業では、令和2年度一次公募から「ゲノム医療実現のためのデータシェアリングポリシー」を新規導入。
- 革新がん事業で、リバース・トランスレーショナル・リサーチの推進を令和2年度概算要求に盛り込み、令和元年度二次公募若手枠では臨床現場の課題把握やデータ利活用が可能な提案を優先することとし、該当課題を採択した。
- 次世代がん事業と革新がん事業の研究課題紹介リーフレット集を作成し、数十社の企業関係者に配布した。(②-4)
- 人工知能をテーマに、他疾患プロジェクトに参加する若手研究者も加わった若手ワークショップを、次世代がん事業、革新がん事業の合同で開催。さらに、若手研究者の海外機関短期研修の派遣人数を拡充(③-2、③-3)

期間実績評価

- 革新がん事業において新たにサポート機関を設立し、臨床研究・ゲノム研究を含む研究開発課題のデータシェアリングの基盤を構築し、異分野技術の融合を通じたリバース・トランスレーショナル・リサーチを促進するための環境を整備するとともに、倫理講習会の合同開催などで、次世代がん事業サポート機関との連携を強化した。(②-1)
- 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、企業向け成果発表会を2回開催するとともに、研究開発課題紹介リーフレット集を企業向けに配布し、個別課題との提携を促す環境を提供した。(③-3)
- 次世代がん事業、革新がん事業で若手リサーチレジデント83人を採用、若手育成枠101名を採択し若手研究者育成を推進。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5回開催し、のべ166人の若手研究者が参加。さらに、計29人の若手研究者を海外派遣し、国際的に活躍できる若手研究者育成を推進した。(③-2)
- 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、ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクトの合同で市民向け成果発表会を計4回開催した。(③-3)

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑦疾患に対応した研究<精神・神経疾患>

令和元年度評価

評定(自己評価)	
A	PDPSPOによる適切な研究開発マネジメント、研究者のリソースや情報の共有促進、さらに、関係省庁、有識者、企業と密に意見交換し事業運営方針や事業間連携の加速を図ったことで、①精神・神経分野のライフステージにわたる研究を行い、健康診断でパーキンソン病・認知症のリスク評価、脳情報動態を多色化記録する超高感度カルシウムセンサーの開発、AMPA受容体PET薬剤を用いた疾患横断的診断法の医師主導治験、ひきこもり者支援の国際評価基準の開発等、成果を挙げた。②認知症や精神疾患に関する治験・臨床研究を推進する基盤であるコホート・レジストリの調査、連携強化を図った。また、日本の認知症疾患修飾薬の上市を目指すため、国際共同治験等を促進すべく、AMEDと企業との意見交換を踏まえ、米国プロトコールを踏襲し、国内外のhealthy longevityへの貢献を図った。③IBIやWorld Wide FINGERS等国際的な枠組み連携、ファンディング機関同士の連携に基づくシンポジウムの開催などの国際連携、若手をターゲットとした公募の実施、若手研究者交流会等の交流・人材育成を図った。以上より、「研究開発成果の最大化」に向けて顕著な成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められる。

① 脳と心の研究における顕著な研究成果事例

事業間連携促進、研究成果の最大化等に向けて取り組み、以下のような顕著な研究成果を挙げた。

①-1 健康診断制度を活用したレジストリを活用し、レビー小体病の前駆症状に関する質問紙調査による簡便な調査でハイリスク者の抽出が可能であることを示した。

①-2 超高感度カルシウムセンサーを開発し、生きたマウス脳の神経活動・シナプス活動ダイナミクスを多細胞種で同時に計測することに成功した。

①-3 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、動物を用いた前臨床研究と、健常者とてんかん患者を対象とした臨床研究を実施した。てんかんの病巣(焦点)の診断薬としての薬事承認を目指し、多施設共同で医師主導治験を推進している。

①-4 ひきこもり者を適切に支援するための新しい国際評価基準を開発した。早期介入および国際化するひきこもり現象の対応実現へ大きな成果である。

② プロジェクトの一体運営と事業運用の改善

<認知症関連事業の一体運営>

②-1 認知症レジストリ/コホートの連携・共有化を目指して、委託調査や課題管理を実施した。

②-2 産官学の連携により認知症創薬開発を加速するトライアル・レディ・コホートを開始し、オンライン上で募集する国内最大規模のプロジェクトを開始した。また製薬協会員企業向けの説明会を実施した。海外に遅れることなく日本の認知症疾患修飾薬の上市を目指すため、国際共同治験等を促進すべく、AMEDと企業との意見交換を踏まえ、米国プロトコールを踏襲した。世界的な高齢化社会に伴う認知症の増加が喫緊の課題となるなか、これにより、国内外のhealthy longevityに貢献できる。

②-3 認知症関連コホート、AMEDシンポジウム等で特に被験者リクルート、アウトリーチについて情報共有に務めた。

②-4 認知症イノベ事業においては事業内の各課題のデータマネジメント体制の構築を行う課題を別に設定した。

②-5 国際脳事業においてはデータシェアに向けてMRI脳画像データ取得のためのハーモナイゼーションプロトコールを策定し、本格的な撮像を開始した。

②-6 「ゲノム医療実現のためのデータシェアリングポリシー」(改訂版)を一部新規課題より適用開始した。

②-7 革新脳後半5年間のより効率的な実施体制等に向けてPS/POと密に議論し、中核拠点を見直し、非ヒト霊長類神経変性疾患モデル研究等の新規課題公募・採択を行い、研究開発を推進している。

②-8 革新脳ではマーモセット脳の特定の神経回路の操作を目指す研究者への普及を目的としてウィルスベクターを配布する体制を構築し提供している。

②-9 障害事業では、精神疾患レジストリ研究を推進し、国際脳と連携して運用可能なシステムを整備・構築した。

③国際連携、人的交流、人材育成等

③-1 今後のIBIにおけるデータ標準化とデータシェアリングWGの方向性の策定向け、ラウンドテーブルを日本にて開催し、今後の体制や方針についての意見とりまとめを行った。

③-2 2020年2月にMRCと共同シンポジウムをイギリス・エディンバラで開催。最新の研究動向等について日英間においての情報共有、意見交換を行った。MRCと将来的な共同公募可能分野について協議した。

<認知症関連事業の国際連携、人的交流>

③-3 認知症イノベ事業において非薬物の多因子介入による認知機能低下抑制の検証を行う課題においては、この分野の先駆的研究(FINGER研究)に類似する世界各国での研究とWorld Wide FINGERSとして交流を行っている。

③-4認知症創薬開発を加速するトライアル・レディ・コホートの開始にあたり、グローバル化する製薬企業の意見を踏まえ、海外と連携し、国際共同治験等を促進すべく、米国プロトコールを踏襲した。

④成果目標達成状況(評価指標)

認知症の診断・治療効果に資するバイオマーカーの確立(臨床POC取得1件以上)	・認知症の早期診断に資する血液バイオマーカーの一部が実用化に進んでいる(アミロイド、タウ蛋白)
日本発の認知症の疾患修飾薬候補の治験開始	・認知症治療薬に関する臨床試験の実施に向けてとりくんでいる
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)	・臨床POC 5件取組中(1件取組開始)、1件検討中 ・ガイドライン 1件策定見込み
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)	・臨床POC 4件取組中(2件取組開始) ・ガイドライン 1件策定見込み
脳全体の神経回路の構造と活動に関するマップの完成	・構造マップ、活動マップ作成をすすめている。前頭前野の回路マップは公開のため準備中(次年度公開予定)

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑦疾患に対応した研究<精神・神経疾患>

期間実績評価

評定(自己評価)	PDPSPOによる適切な研究開発マネジメント、研究者のリソースや情報の共有促進、さらに、関係省庁、有識者、企業との密な意見交換等のもとで事業運営方針や事業間連携の加速を図ったことなどにより、①精神・神経分野のライフステージにわたる研究を行い、成果を挙げた。②認知症や精神疾患に関する治験・臨床研究を推進する基盤であるコホート・レジストリの調査、連携強化を図り、さらに研究成果を国内外へ提供する体制を構築した。③IBI等国際的な枠組み連携、ファンディング機関同士の連携に基づくシンポジウムの開催、国際会議の開催を実施するなどの国際連携、若手向け公募の実施、若手研究者交流会等の交流・人材育成を図った。基礎研究や創薬を踏まえたコホート研究を通じ、認知症をはじめとした精神神経疾患の基礎から臨床までの研究を管理してきた。認知症についてはさらに社会実装に繋げていく基盤を構築してきた。以上より、「研究開発成果の最大化」に向けて成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められる。

	H27	H28	H29	H30	R1	見込	期間
自己評価	B	B	B	B	A	B	B
主務大臣評価	B	B	B	B		B	

①脳と心の研究における顕著な研究成果事例

各事業において得られた以下のような顕著な研究成果等をふまえ、今後の事業間連携促進、研究成果の最大化等に向けて取り組んだ。

①−1　質量分析システムを用いて血液からアルツハイマー病変(アミロイド蓄積やp−tau)を超高感度で定量する方法の開発に成功した。

①−2　脳画像指標や表情・視線・声色など臨床的意義の高い指標の定量的評価法を用いて、経鼻投与オキシトシンの自閉スペクトラム症(ASD)治療効果の実証と効果発現機序の解明を進めた。

①−3　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。

②プロジェクトの一体運営と事業運用の改善

＜認知症関連事業の一体運営＞

②-1　認知症レジストリ/コホートの連携・共有化を目指して行った委託調査をもとに有識者へのヒアリング、課題管理を行った。

②-2　産官学の連携により認知症創薬開発を加速するﾄﾗｲｱﾙ・ﾚﾃﾞｨ・ｺﾎｰﾄを開始し、オンライン上で募集する国内最大規模のプロジェクトを開始した。また製薬協会員企業向けの説明会を実施した。

②-3　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、AMEDシンポジウム等も利用して、情報収集・発信に努めた。

②-4　国際脳事業を開始し、革新脳事業で蓄積したMRI脳画像を含め、大規模データを一括管理しシェアするための一括管理する体制整備に着手した。また、MRI脳画像データのハーモナイゼーションに向けた取組を推進した。

②-5　「ゲノム医療実現のためのデータシェアリングポリシー」(改訂版)を一部の新規課題より適用対象とした。

②-6　革新脳後半5年間のより効率的な実施体制等に向けてPS/POと密に議論し、中核拠点を見直し、非ヒト霊長類神経変性疾患モデル研究、ヒト疾患研究等の新規課題公募・採択を行い、研究開発を推進している。

②-7　ヒト脳疾患の原因究明と治療法開発のためのオールジャパン体制の精神･神経疾患ブレインバンクを構築し、リソースを適切に提供した。

②-8　障害事業では、精神疾患レジストリ研究を推進し、国際脳と連携して運用可能なシステムを整備・構築した。

③国際連携、人的交流、人材育成等

③-1　MRC、NIHなどの海外機関や、WDC、IBI、HCP、JPND、IMI等の国際的な枠組みとの連携に積極的に取り組んだ。(1)国際脳中核的組織にIBI等との国際連携を進める体制を構築。(2)国際脳では米国HCP研究者と意見交換。(3) MRCとの共同シンポジウムを3回開催。

③-2　国際脳では若手枠を設け公募を行い12課題採択し、PS,POによる進捗管理等指導の基、若手PI育成を推進した。

③-3　研究者交流会、異分野交流会、海外視察等において、各事業に参画する研究者が自らの研究を発表し、他の研究者と意見交換や情報共有の機会が得られるよう取り組んだ。

③-4　国際脳では国際レビューアを導入し、ヒト脳の経時的縦断的脳画像等の総合的解析研究に係わる公募を行い、2課題採択した。

④成果目標達成状況(評価指標)

認知症の診断・治療効果に資するバイオマーカーの確立(臨床POC取得1件以上)	・認知症の早期診断に資する血液バイオマーカーの一部が実用化に進んでいる(アミロイド、タウ蛋白)
日本発の認知症の疾患修飾薬候補の治験開始	・認知症治療薬に関する臨床試験の実施に向けてとりくんでおり、トライアル・レディ・コホートを構築した。
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)	・臨床POC1件取得済(取組み中5件、検討中2件) ・ガイドライン5件策定済(見込み1件)
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)	・臨床POC3件取得済(取組み中4件) ・ガイドライン3件策定済(見込み1件)
脳全体の神経回路の構造と活動に関するマップの完成	・構造マップ、活動マップ作成をすすめている。前頭前野の回路マップは公開のため準備中(次年度公開予定)

Ⅰ 2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑦疾患に対応した研究<精神・神経疾患>

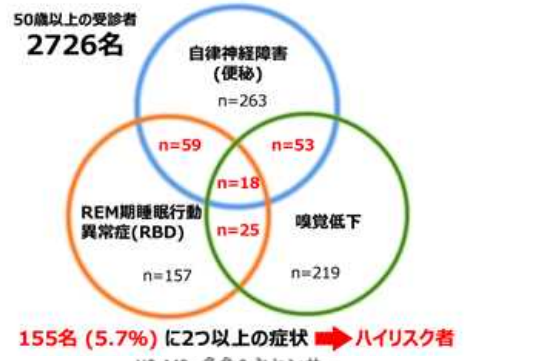
令和元年度評価

①脳と心の研究における顕著な研究成果事例

事業間連携促進、研究成果の最大化等に向けて取り組み、以下のような顕著な研究成果を挙げた。

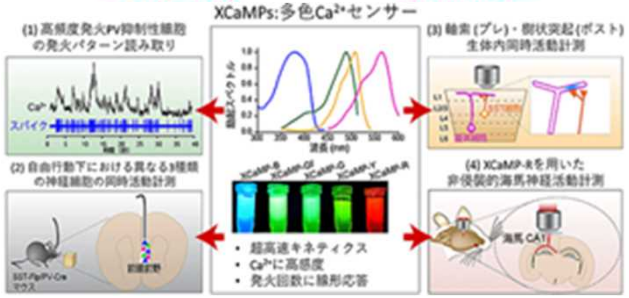
①－１　健康診断でパーキンソン病・認知症のリスクを評価

神経症状を有しないハイリスク者を通常診療で同定することは極めて困難だが、健康診断制度を活用したレジストリを活用し、レビー小体病の前駆症状に関する質問紙調査による簡便な調査でハイリスク者の抽出が可能であることを示した。



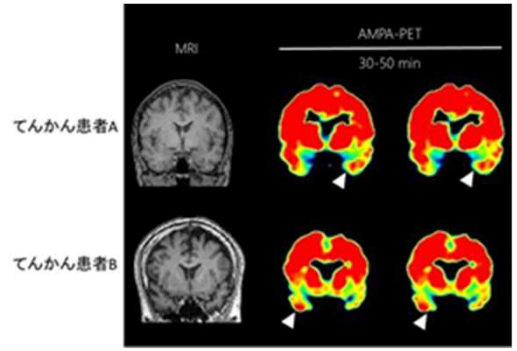
①－２　脳情報動態の多色化記録を実現する超高感度カルシウムセンサーの開発

神経活動・シナプス活動ダイナミクスを生きたマウス脳で多色HiFi記録することを実現。最高性能の超高速カルシウムセンサーの開発に成功した。5感・行動・記憶などの過程を制御する神経細胞活動の測定技術を飛躍的に進展させ、自閉症等の精神疾患や、てんかんなど神経疾患の病態解明が期待される。



①－３　AMPA受容体PET薬剤を用いた疾患横断的診断法の医師主導治験

ヒトの生体脳内でAMPA受容体を可視化する陽電子断層撮像（Positron Emission Tomography: PET）用のトレーサー（化合物：[11C]K-2）を世界で初めて開発し、動物を用いた前臨床研究と、健常者とてんかん患者による臨床研究により、[11C]K-2が生体内でAMPA受容体を特異的に認識していることを証明した。更に、てんかん患者の病巣（焦点）にAMPA受容体の集積を見いだし、治療による回復効果のバイオマーカーとしての有効性を示した。



①－４　ひきこもり者を適切に支援するための新しい国際評価基準を開発

これまで、ひきこもり者の回避状態の評価や精神疾患の除外診断が、診断を困難にさせていたが、これらの有無を問わない独自の国際的に通用する病的な「ひきこもり（hikikomori: pathological social withdrawal）」の診断評価基準を開発した。今回の基準により、支援が必要なひきこもり状態にあるかどうかを周囲の観察によりスムーズに判断可能となった。「前ひきこもり」状態を評価基準に加えたことで、ひきこもりの予防や早期支援に向けた新しい支援体制の構築、国際的な実態把握と介入法開発の進展が期待できる。



Ⅰ 2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑦疾患に対応した研究<精神・神経疾患>

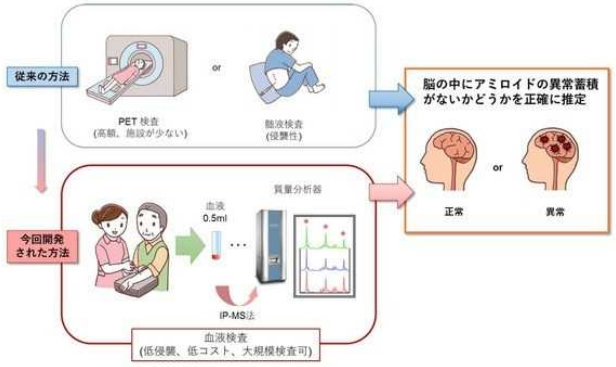
期間実績評価

①脳と心の研究における顕著な研究成果事例

①-1 アルツハイマー病変の早期検出法を血液検査で確立

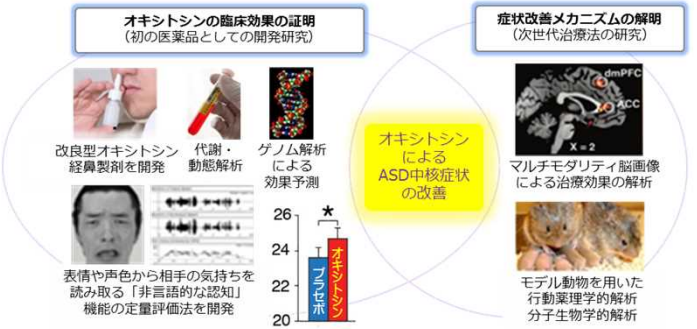
・質量分析システムを用いたアルツハイマー病血液バイオマーカーについて、採取が容易な血液（僅か0.5CC）でアルツハイマー病変を早期に正確に検出することが可能となり、現在用いられている脳脊髄液（CSF）やPETイメージングの検査に匹敵する極めて高い精度のアルツハイマー病変（アミロイド蓄積）検出法を確立した。

・アルツハイマー病患者の脳に特異的に蓄積するリン酸化タウ蛋白（p-tau）を、ヒトの血液中で特異的に定量できる超高感度定量系を世界で初めて開発した。



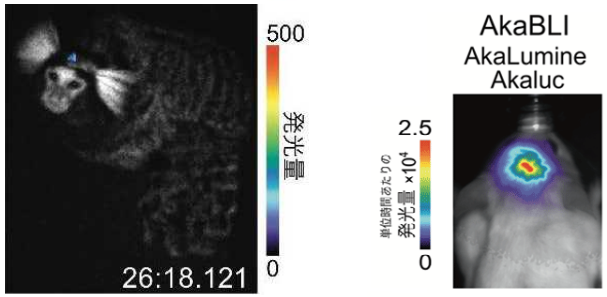
①-2 自閉スペクトラム症へのオキシトシン経鼻スプレーの治療効果を検証

脳画像指標や表情・視線・声色など臨床的意義の高い指標の定量的評価法を用いて、経鼻投与オキシトシンの自閉スペクトラム症（ASD）治療効果の実証と効果発現機序の解明を進めた。その解析結果を基に、ASDの中核症状の初の治療薬としてオキシトシン点鼻剤の新規製剤を開発した。



①-3 脳深部を非侵襲的に観察できる人工生物発光システムを開発

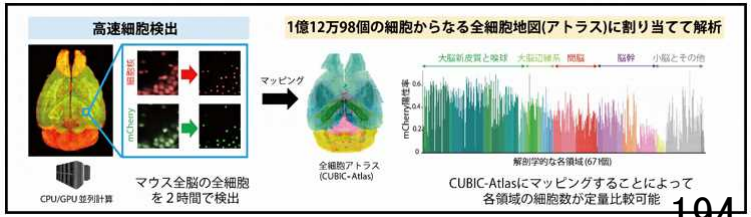
新規の人工生物発光システムAkaBLIを開発し、生きた動物個体深部からのシグナル検出能を飛躍的に向上させ、マウスやコモンマーモセットの標識神経細胞からの発光を、無麻酔かつ自由行動の状態で非侵襲的に可視化することに成功した。AkaBLIは、少数の腫瘍細胞や幹細胞の新生や移入、さらにその後に起こる生着、増殖、転移などの現象を高感度にかつ定量的に観察することを可能にし、動物個体を扱う生命科学分野で幅広い利用が期待される。



https://youtu.be/tf1UdNcJfHI?t=27

① -4 マウス脳を構成する約1億個の細胞を解析することに成功

透明化した臓器内の全ての細胞を解析する「全細胞解析」により、マウス全脳の全細胞を2時間以内で検出でき、その結果、マウス全脳が約1億個の細胞で構成されていることが明らかになった。本技術はマーモセット脳の3次元観察・解析技術として、霊長類脳の神経回路の解明への貢献が期待される。



Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑦疾患に対応した研究<精神・神経疾患>

令和元年度評価 | 期間実績評価

②プロジェクトの一体運営と事業運用の改善
<認知症事業の一体運営>

②−2 認知症及び精神・神経疾患レジストリ/コホートの連携・共有化を目指した委託調査や課題管理。
国内の関連したデータベースやレジストリのさらなる連携による全国展開の推進、臨床検体の基礎研究での利用の推進等を図ることにより、認知症及び精神・神経疾患分野における研究開発の活性化を図る。

②-3 産官学の連携により認知症創薬開発を加速するﾄﾗｲｱﾙ・ﾚﾃﾞｨ・ｺﾎｰﾄの構築に向けて製薬協や認知症関連学会と意見交換し、開始にあたって製薬協会員企業向けの説明会を実施した。
海外に遅れることなく日本の認知症疾患修飾薬の上市を目指すため、国際共同治験等を促進すべく、AMEDと企業との意見交換を踏まえ、米国プロトコールを踏襲した。世界的な高齢化社会に伴う認知症の増加が喫緊の課題となるなか、これにより、国内外のhealthy longevityに貢献できる。

②-4 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、連携ｼﾝﾎﾟｼﾞ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、AMEDｼﾝﾎﾟｼﾞｳﾑ等も利用して、情報収集・発信に努めた。

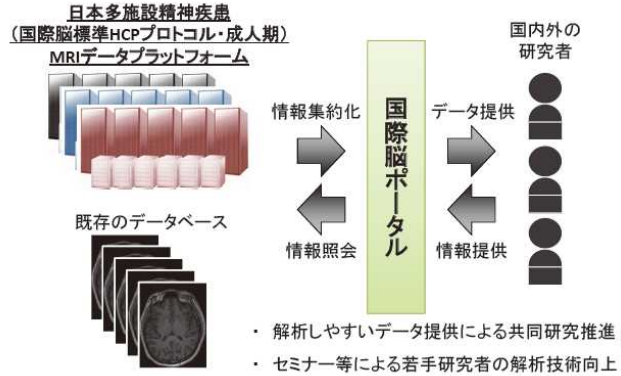
②−5 国際脳事業を開始し、革新脳事業で蓄積したMRI脳画像を含め、大規模ﾃﾞｰﾀを一括管理しｼｪｱするための一括管理する体制整備に着手した。また、MRI脳画像データ取得のためのハーモナイゼーションプロトコールの策定に向けた取組を推進した。
国際脳事業を開始し、革新脳事業で蓄積したMRI脳画像等の大規模データセットだけでなく、国際脳事業で取得する健常・疾患患者MRI脳画像等を一括管理し、大規模脳画像データについて各研究者に効率的に配布する体制の整備に着手した。

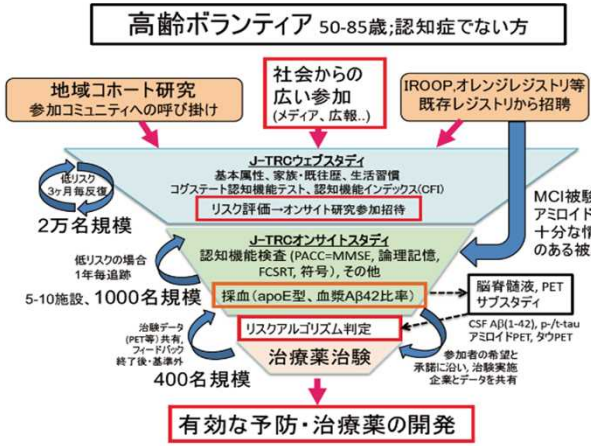
②−6 「ゲノム医療実現のためのデータシェアリングポリシー」（改訂版）一部の新規課題より適用対象とした。

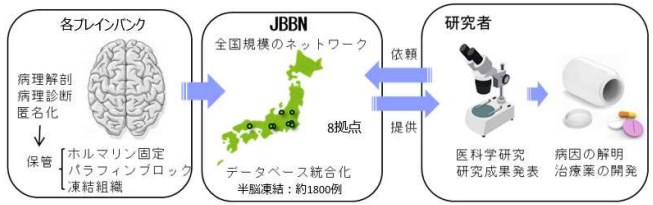
②−7 革新脳後半5年間のより効率的な実施体制等に向けてPD/PSと密に議論し、中核拠点見直し、新規課題を公募にて採択した。

②−8 ヒト脳疾患の原因究明と治療法開発のためのオールジャパン体制の精神・神経疾患ブレインバンクの構築・適切に提供した。
国内既存ブレインバンクのリソースを有効利用するために日本ブレインバンクネット（JBBN）を構築し、各バンクの情報を統合した。ヒト死後脳に基づいた精神・神経疾患の病態解明および治療シーズ探索を開始した。

②−8 革新脳ではマーモセット脳の特定の神経回路の操作を目指す研究者への普及を目的としてウイルスベクターを配布する体制を構築し提供している。







Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑦疾患に対応した研究<精神・神経疾患>

③国際連携、人的交流、人材育成等

令和元年度評価

③−1　今後のIBIにおけるデータ標準化とデータシェアリングWGの方向性の策定向け、ラウンドテーブルを日本で開催し、今後の体制や方針についての意見とりまとめを行った。

③−2　2020年2月にMRCと共同シンポジウムをイギリス・エディンバラで開催。最新の研究動向等について日英間においての情報共有、意見交換を行った。MRCと将来的な共同公募可能分野について協議した。

＜認知症関連事業の国際連携、人的交流＞

③−3　認知症ｲﾉﾍﾞ事業において非薬物の多因子介入による認知機能低下抑制の検証を行う課題においては、この分野の先駆的研究(FINGER研究)に類似する世界各国での研究とWorld Wide FINGERSとして交流を行っている。

③-4 認知症創薬開発を加速するﾄﾗｲｱﾙ･ﾚﾃﾞｨ･ｺﾎｰﾄの開始にあたり、グローバル化する製薬企業の意見を踏まえ、海外と連携し、国際共同治験等を促進すべく、米国プロトコールを踏襲した。





期間実績評価

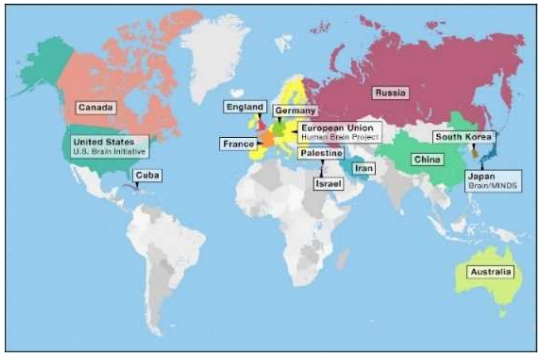
③−1　MRC、NIHなどの海外機関や、WDC、IBI、HCP、JPND、IMI等の国際的な枠組みとの連携に積極的に取り組んだ。

③−2　国際脳では若手枠を設け公募を行い12課題採択し、PSPOの指導のもと推進している。

③-3　研究者交流会、異分野交流会、海外視察等において、各事業に参画する研究者が自らの研究を発表し、他の研究者と意見交換や情報共有の機会が得られるよう取り組んだ。

③−4　国際脳では国際レビューアを導入し、ヒト脳の経時的縦断的脳画像等の総合的解析研究に係わる公募を行い2課題採択した。





Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑦疾患に対応した研究<精神・神経疾患>

令和元年度評価　期間実績評価

＜成果目標達成状況＞

KPI【令和2年までの達成状況】	① 令和2年3月迄の累積達成状況	② ①のうち、令和元年度の達成状況
認知症の診断・治療効果に資するバイオマーカーの確立（臨床POC取得1件以上）	認知症の診断・治療効果に資するバイオマーカーの一部は実用化に進んでいる。	・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進めている。【国際脳】
日本発の認知症の疾患修飾薬候補の治験開始	認知症治療薬に関する臨床試験の実施に向けて取り組んでおり、トライアルレディコホートを構築した。	・アルツハイマー病の超早期病態に関連する分子を同定するなど、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。【革新脳】 ・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し、課題を採択して被験者の組み入れを開始している。【認知症】
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）	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。 ①臨床POC取得等： 取得1件、取組中5件、検討中2件 ②診療ガイドライン策定等： 策定5件、策定見込み1件、策定に寄与1件	＜診断法： 臨床POC取得に向けた状況＞ ・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、効率化を図った。てんかんの病巣（焦点）の診断薬としての薬事承認を目指し、多施設共同で医師主導治験を開始した。【脳プロ】 ・オミックス解析を駆使したうつ病の診断マーカー開発に取り組みを開始した。 ・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利用して、今後、ニューロフィードバックの治験を実施予定。【障害・国際脳】 ・機能的磁気共鳴画像（fMRI）データを基にうつ病の中核群とされるメランコリア特徴をともなううつ病を判別するバイオマーカーを開発し、POC取得を検討中。 ＜診断法： 診療ガイドライン策定状況＞ ・国際的に通用する病的な「ひきこもり（hikikomori: pathological social withdrawal）」の診断評価基準を開発し、診療ガイドラインを策定見込みである。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑦疾患に対応した研究<精神・神経疾患>

令和元年度評価　期間実績評価

＜成果目標達成状況＞

KPI【令和2年までの達成状況】	① 令和2年3月迄の累積達成状況	② ①のうち、令和元年度の達成状況
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）	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。 ①臨床POC取得等： 取得3件、取組中4件 ②診療ガイドライン策定等：策定3件、策定見込み1件	＜治療法： 臨床POC取得に向けた状況＞ ・R-ケタミンをうつ病の治療薬候補として海外企業に導出し、第一相治験を開始した。【脳プロ】 ・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新規治療法について、自主臨床試験を開始した（H28-R2）。【脳プロ】 ・結合ニューロフィードバックのギャンブル障害への治療応用を実施中。 ・治療抵抗性うつ病に対するrTMS治療縦断研究を実施中。 ＜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。前頭前野の回路マップは公開のため準備中（R2年度公開予定）	・脳情報動態の多色化記録を実現する超高感度Ca^{2+}センサーの開発に成功し、高次脳機能等を制御する神経細胞活動の計測技術を飛躍的に進展させた。【革新脳】 ・また、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）を開発しマーモセットに応用を進めている【革新脳】

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑦疾患に対応した研究<精神・神経疾患>

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

令和元年度評価

・認知症前臨床期の人を対象とした治験即応型コホートを立ち上げ、オンライン上で募集する国内最大規模のプロジェクトを開始した。(前ページR1年①-2参照)
・超高感度カルシウムセンサーを開発し、生きたマウス脳の神経活動・シナプス活動ダイナミクスを多細胞種で同時に計測することに成功した。(前ページR1年①-3参照)
・認知症及び精神・神経疾患レジストリ/コホートの連携・共有化を目指して、連携の全国展開の推進等を図った。(前ページR1年②-1参照)
・国際脳事業においてはデータシェアに向けてMRI脳画像データ取得のためのハーモナイゼーションプロトコールを策定し、本格的な撮像を開始した。(前ページR1年②-5参照)
・革新脳後半5年間のより効率的な実施体制等に向けてPS/POと密に議論し、中核拠点を見直し、非ヒト霊長類神経変性疾患モデル研究等の新規課題公募・採択を行い、研究開発を推進している。(前ページR1年②-7参照)

期間実績評価

・脳の深部を非侵襲的に観察できる人工生物発光システムの開発により高次脳機能のリアルタイム可視化への応用が可能となった。
・認知症の人等(前臨床期、MCI、軽度・中等度・進行期)の全国的な情報登録・追跡システムであるオレンジレジストリを本格稼働した。
・機能的結合ニューロフィードバック学習法を応用しネットワーク内での特定の配線における繋がり方を増加または減少させることに成功し、繋がり方を変化させた方向に応じて認知機能の変化が異なることを明らかにした。
・ギャンブル依存症の神経メカニズムとして、前頭葉の一部の活動や結合が低下することにより、リスクの取り方の柔軟性に障害が生じることが明らかとなった。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑦疾患に対応した研究<精神・神経疾患>

評価軸 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。

令和元年度評価

・健康診断制度を活用したレジストリを活用し、レビー小体病の前駆症状に関する質問紙調査による簡便な調査でハイリスク者の抽出が可能であることを示した。(前ページR1年①−1参照)
・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、動物を用いた前臨床研究と、健常者とてんかん患者を対象とした臨床研究を実施した。てんかんの病巣(焦点)の診断薬としての薬事承認を目指し、多施設共同で医師主導治験を推進している。(前ページR1年①−4参照)
・認知症前臨床期の人を対象とした治験即応型コホートを立ち上げ、オンライン上で募集する国内最大規模のプロジェクトを開始した。(前ページR1年①−2参照)

期間実績評価

・血液を用いたアルツハイマー病の簡便な早期診断、治療効果測定に資するバイオマーカーを探索し、新規アミロイドβ関連ペプチド、リン酸化タウ蛋白(p−tau)等を発見した。(前ページ期間評価①−1参照のこと)
・脳画像指標や表情・視線・声色など臨床的意義の高い指標の定量的評価法を用いて、経鼻投与オキシトシンの自閉スペクトラム症(ASD)治療効果の実証と効果発現機序の解明を進めた。(前ページ期間評価①−2参照)
・統合失調症に関して、脳の後頭葉の脳回形成の変化が発症を予測することや、大脳皮質下領域の異常が社会機能障害に関与することを発見した。
・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。
・認知症前臨床期の人を対象とした治験即応型コホートを立ち上げ、オンライン上で募集する国内最大規模のプロジェクトを開始した。(前ページR1年①−2参照)

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑧疾患に対応した研究＜新興・再興感染症＞

令和元年度評価

評定（自己評価）	
S	令和元年度は①特に**新型コロナウイルス感染症の流行に即応する社会的緊急性に応じた研究開発支援のために、タイムリーな既存課題への追加交付、ワクチン・診断法・治療法開発に係る新規課題開始を行った結果、 新型コロナウイルス感染症の迅速遺伝子診断キットを開発、行政検査対象化、保険適用がなされ、血清迅速診断キットについてはプロトタイプの開発など社会実装が見込まれる速やかな成果の創出に貢献した。また、既存薬活用による治療を促進するため臨床開発研究を支援した。**その他、エボラウイルスワクチン、ジカウイルスワクチンの臨床試験開始、万能インフルエンザワクチンへの応用に向けた様々なインフルエンザを防御する抗体誘導法の開発など、グローバルヘルスに資する実用化研究を推進した。②プロジェクト一体運営のための連携強化および事業運用改善の一環として、文科省新事業開始に際しては厚労省事業との相補性を勘案した公募課題の設定、CiCLE事業によるAMR研究動向調査、感染症に関連する免疫レパトアデータの集積と利活用の実態調査を実施した。③若手の感染症研究者育成の推進のための研究成果発表会開催、公募若手育成枠における国際化、研究者間の人的交流推進のためのAMRシンポジウムの開催、2019年GloPID-R総会のホスト、感染症研究分野のデータシェアリング推進を図るサイドイベント主催、JPIAMR活動への協力など、研究者育成・人的交流・国際連携等に資する活動強化を行った。これらの成果により、④2020年及び2030年までの達成目標に向け着実に進捗が得られている。国内外の研究拠点活用や国際連携・展開を促進する取り組み、および国際的な活躍を見据えた若手研究者の育成、国の感染症対策にも繋がる国内外の様々な病原体疾患研究など、各事業の特徴を有機的に連携させ、以上より、「研究開発成果の最大化」に向けて特に顕著な成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められる。

① 顕著な研究成果

PSPO及び事業担当による課題進捗の把握、研究集会、班会議等での有用な助言や情報提供、臨床試験の開始に際しては事業担当による専門性の高い助言やPMDA同行などの支援をタイムリーに行った結果、以下に代表される顕著な研究成果が創出された。

①-1 社会的緊急性に応じた新型コロナウイルス感染症（COVID-19）対策に資する機動的な研究開発支援
①-2 万能インフルエンザワクチン応用に向けた様々なインフルエンザを防御する抗体誘導法の開発
①-3 気道上皮組織でインフルエンザウイルスを感知する病原体センサータンパク質発見
①-4 エボラ出血熱に対する次世代ワクチンの開発 第I相臨床試験実施
①-5 ウエストナイルウイルスの病態発症機構を発見
①-6 インドネシアに流行するHIV-1(エイズウイルス） サブタイプB亜種の侵入経路を推定
①-7 ベトナムに広がる結核の特徴と危険因子をゲノムレベルで解明
①-8 マラリア原虫の増殖に関わる宿主因子の解明
①-9 B型肝炎ウイルスの細胞内侵入経路の解明
①-10 ノロウイルスの細胞への侵入が胆汁酸により助長されることを発見
①-11 パラミクソウイルス感染に重要な宿主タンパク質を発見
①-12 ジカウイルスワクチンの開発 第I相企業治験実施

② プロジェクトの一体運営と事業運用改善

②-1 プロジェクト間連携強化
プロジェクト一体運営のための連携強化の一環として、令和2年度にJ-GRID, J-PRIDEが発展的に統合される文科新事業の開始に際し、対策に重きを置く厚労省の新興再興感染症事業の研究支援との相補的効果を図り、感染症研究のレベルアップや人材育成を促す基礎研究に重点を置いた公募課題を設定した。新興再興制御プロジェクト3事業合同シンポジウムについては、プロジェクト連携の成果を発信する目的で3月9日開催予定で準備を進め、プログラム、抄録集を完成させた（しかし、新型コロナウイルス感染症流行の拡大防止の流れを受けて開催延期）。また、プロジェクト間・事業間横断による研究推進のため、課題主体のHTLV-1関連疾患研究領域合同発表会の開催を支援した。**新型コロナウイルス感染症の世界的流行に際しては、厚労事業、文科事業の関連課題、関連分野の研究者に迅速に情報収集等を行い、緊急の研究支援の予算措置につなげた。**

②-2 プロジェクト一体運営と課題管理強化のためのPDPSPO体制
プロジェクト一体運営の実現に向けて、事業間の情報共有や、事業の運営方法等に関する積極的な意見交換のため、5事業合同のPDPSPO会議を開催した。また、プロジェクト全体を見るPD、事業を横断して兼任するPS、POによる課題横断的な助言で、事業間の連携を促進し、効率的で無駄のない研究支援を実施した。

②-3 CiCLE伴走支援
CiCLE事業の感染症研究課題支援の一環として、感染症に関連する基礎及び実用化研究についての調査・分析、AMRに関連する動向調査、英国におけるPull Inventiveの実態調査、AMR研究開発優先課題リストの検討、創薬研究開発に利用可能な海外臨床研究ネットワークの情報収集を行った。さらに感染症に関連する免疫レパトアデータの集積と利活用の実態について調査を行った。

③ 研究者育成、人的交流、国際連携等に資する活動

③-1 若手の感染症研究者育成の推進
キャリアパス支援の枠組みで登用した2名の若手研究者が大学及び研究機関等の職員として採用された。J-PRIDEでは研究成果発表会（参加者数：約180名）を開催、異分野間で若手研究者の交流や議論を促すことで若手育成を推進した。J-PRIDEの先進的な研究課題を通じて若手データサイエンティスト育成が促進され、2020年に米国の機関で開催されるData Science Summer Institute(DSSI) への大学院生派遣を決定、若手への機会提供に貢献した。

③-2 国際事業SICORPの共同公募への橋渡し
J-PRIDEの日英共同研究支援の取り組みから、感染症分野での日英協力の持続的発展の可能性を見出し、国際事業SICORPの共同公募への橋渡しを実現、若手研究者の国際的な活躍につながる機会を提供した。

③-3 若手推進枠の設定
新興・再興感染症事業の令和2年度開始課題の公募にて、若手研究者が応募しやすいよう若手推進枠を設定し、国際的な人材育成のために国際レビューア（候補者51名の確保）を導入し、提案書の一部英語化を行った。若手枠21件応募中3名の支援を開始する。

③-4 研究者間の人的交流の推進
研究者間の人的交流推進のため、第2回AMRシンポジウムを開催し、AMEDのAMR事業への取り組み（サーベイランス・バンク、創薬）およびPush/Pullインセンティブ等に関する発表を通じ、AMRに関する喫緊の課題の共有や議論、研究者間の人的交流を推進した。

③-5 国際連携に資する活動
1）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、GloPID-R（Global Research Collaboration for Infectious Disease Preparedness）の活動として、**2019年GloPID-R総会ホスト、同時開催の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た。さらに、GloPID-Rの"Joint funding Mechanism"検討ワーキンググループに参加して、共同研究の可能性を探った。新型コロナウイルスに関して、WHOとGloPID-Rが共同で開催したフォーラムに招待され、研究開発ロードマップをまとめた。** また、AMED研究支援情報をGloPID-R Newsletterで発信した。
2）薬剤耐性(AMR)研究の国際連携、JPIAMR（Joint Programming Initiative on Antimicrobial Resistance）の活動として、アジアAMRワークショップ（2019年12月）、Hacking AMR（2019年12月）等に研究者を派遣するなどして日本の研究者を海外ネットワークにつなげ、数学やAIなど新たな視点によるAMR研究推進の取り組みにも貢献した。結核を中心としたグローバル感染症国際シンポジウム開催を支援した。
3）J-GRID国際フォーラム(Asian-African Research Forum on Emerging and Reemerging Infections)の開催
アジア・アフリカ9拠点及び国内から研究者200名以上が2019年9月に北海道大学において、コレラ菌等の不顕性感染者発見、迅速診断キット・多剤耐性結核治療薬開発等の最先端の研究成果の発表(口頭40件、ポスター97件)や意見交換を2日間行い、拠点を越えたグローバルな研究ネットワーク形成を探る有意義な機会となった。

④ 成果目標達成状況（評価指標）

※参考資料 ＜成果目標達成状況＞ 参照

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑧疾患に対応した研究＜新興・再興感染症＞

期間実績評価

AMED

評定（自己評価）
A

新興・再興感染症制御プロジェクトでは、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のため、各事業の特徴を有機的に連携させ、国内外の研究拠点活用や国際連携・展開の促進、および国際的な活躍を見据えた若手研究者の育成、国の感染症対策にも繋がる国内外の様々な病原体疾患研究支援などに取り組んだ。その結果、①迅速診断法の製造販売承認取得、ワクチンシーズの企業導出およびFirst in humanでの臨床試験の実施など、開発フェーズ後期のものから2年連続でのAMED 理事長賞（日本医療研究開発大賞）受賞研究者を輩出した研究を含む基盤・基礎研究、さらに新型コロナウイルス感染症の流行に即応する社会的緊急性に応じた機動的な研究開発支援の開始など、グローバルヘルスに資する研究を推進した。② 斬新な視点・発想に基づく異分野連携・若手研究者による挑戦を支援する新規事業「感染症研究革新イニシアティブ（J-PRIDE）」を立ち上げ、若手研究者や課題間の交流や情報交換、人材育成、国際連携を促す取り組みを積極的に行い、国際事業SICORPによる日英共同公募へ橋渡しなど、国際協力の持続的発展の道を開いた。また、CiCLE事業のAMR研究課題支援の一環として、AMR等の喫緊の課題についてAMED、関係学会、製薬企業の専門家等による抗菌剤創薬の観点からの意見交換会を実施し、「耐性菌株バンク構築」、「抗菌薬開発インセンティブ調査」の実施につながる具体的対応を推進した。③国際アライアンス（GloPID-R、JPIAMR等）への参加、連携により日本の研究者を海外ネットワークにつなげる事に貢献した。「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。
また、第2期医療分野研究開発推進計画における疾患を限定しないモダリティ等の6つの統合プロジェクトでは、各事業は①医薬品プロジェクト、⑤疾患基礎研究プロジェクトに分かれるが、次期計画でも、疾患領域に関連した研究開発（感染症）として、研究フェーズの橋渡しや研究開発状況・動向に関する情報共有など、引き続き密な連携を確保する。

	H27	H28	H29	H30	R1	見込	期間
自己評価	A	A	S	A	S	A	A
主務大臣評価	A	A	S	A		A	

①　顕著な研究成果

PS･PO及び事業担当による課題進捗の把握、研究集会、班会議等での有用な助言や情報提供、製造販売承認取得や治験の開始に際しては事業担当による専門性の高い助言やPMDA同行などの支援をタイムリーに行った結果、以下に代表される顕著な研究成果が創出された。

①-1　ノロウイルスワクチンシーズの企業導出
①-2　**ジカウイルス感染症の迅速診断キットの製造販売承認取得**
①-3　ジカウイルスワクチンの開発　第I相企業治験実施
①-4　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相治験完了
①-5　多剤耐性結核に対する新規治療用DNAワクチンの治験開始
①-6　エボラ出血熱に対する次世代ワクチンの開発　第I相臨床試験実施
①-7　2年連続でのAMED 理事長賞（日本医療研究開発大賞）受賞研究者の輩出
研究成果(1) トキソプラズマ症の免疫反応に関する重要な因子Gate-16の同定トキソプラズマ病原性因子GRA15がかかわる宿主免疫応答を抑制する新規病原性機構の発見
研究成果(2) ムンプスウイルスの細胞表面受容体への結合構造解明、麻疹ウイルス膜蛋白質構造の原子レベルでの可視化による感染阻害メカニズム解明
①-8　**社会的緊急性に応じた新型コロナウイルス感染症（COVID-19）対策に資する機動的な研究開発支援**
①-9　ノロウイルスワクチンの開発につながるマウスノロウイルス感染受容体の発見
①-10　中東呼吸器症候群（MERS）コロナウイルスの感染阻害剤の同定
①-11　高病原性鳥インフルエンザH5N1ウイルスに対する抗体保有状況の解明
①-12　ベトナムにおけるジカ熱の流行とジカウイルス感染に起因する小頭症例の証明
①-13　熱帯熱マラリア原虫のヒト免疫応答抑制による重症化分子メカニズム解明
①-14　ダニ媒介性脳炎ウイルスによる中枢神経症状発症メカニズム解明
①-15　高病原性H7N9鳥インフルエンザウイルスの哺乳類間飛沫感染による感染伝播の証明
①-16　エボラ出血熱の重症化メカニズムを解明、予後を予測するためのバイオマーカー同定
①-17　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成功
①-18　慢性活動性EBウイルス感染症による血液がんを引き起こす仕組みの解明
①-19　インフルエンザ予防に重要な分泌型IgA（SIgA）抗体の四量体型SIgA抗体作製技術開発
①-20　万能インフルエンザワクチン応用に向けた様々なインフルエンザを防御する抗体誘導法の開発
①-22　RSウイルスの再感染の原因を示唆（抗原タンパクのアミノ酸置換による抗原性変化）
①-23　特定のウイルスに感染した後、呼吸器感染症に対するリスクが上昇することを発見

②　プロジェクトの一体運営と事業運用改善

②-1　J-PRIDEの機動的事業運営

平成29年度に開始した感染症研究革新イニシアティブ（J-PRIDE）において、異分野連携と若手の斬新な発想に基づく挑戦的な30課題を採択、支援においては、若手研究者の交流や課題間の情報交換、国際連携を促す取り組みを積極的に行った。事業での日英共同研究支援の取り組みから、感染症分野での日英協力の持続的発展の可能性を見出し、国際事業SICORPの共同公募への橋渡しを実現、若手研究者の国際的な活躍につながる機会を提供した。

②-2　プロジェクト一体運営と課題管理強化のためのPDPSPO体制

プロジェクト一体運営の実現に向け、事業間の情報共有、事業の運営方法等の意見交換のため、5事業合同のPDPSPO会議を開催した。また、課題の円滑な管理、実用化に向けた強化、事業間連携促進のため、事業を横断して兼任するPS、POの設置や、製薬企業での経験のあるPOを新規委嘱し、研究班会議や評価委員会における適切な助言にて、創薬関係の課題管理強化に繋げた。

②-3　プロジェクト間連携強化

プロジェクト一体運営のための連携強化の一環として、感染症研究課5事業一般向けパンフレットの作成、事業間合同開催による5事業連携市民向け公開講座、新興再興事業・J-GRID・J-PRIDE合同シンポジウムを開催した。また、プロジェクト間・事業間横断による研究推進のため、課題主体のシンポジウム、ワークショップ等の開催を支援した。文科省新事業令和2年度開始に向けて、厚労事業の研究支援との相補性を図る公募課題設定など、プロジェクト連携の利点を生かした事業運営を行った。新型コロナウイルス感染症の世界的流行に際しては、厚労事業、文科事業の関連課題、関連分野の研究者に迅速に情報収集等を行い、緊急の研究支援の予算措置につなげた。

②-4　「ゲノム医療実現のためのデータシェアリングポリシー」の改訂

データシェアリングポリシーの適用範囲拡大のため、プロジェクト間・事業間横断的に大幅な改訂を行った。

②-5　CiCLE伴走支援

CiCLE事業のAMR研究課題支援の一環として、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「AMR連絡会」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を実施し、課題伴走となる 「耐性菌株バンク構築」の実施につながる具体的対応が進んだ。また、感染症に関連する基礎及び実用化研究についての調査・分析、AMRに関連する動向調査、英国におけるPull Inventiveの実態調査(報告書を公開)、AMR研究開発優先課題リストの検討、創薬研究開発に利用可能な海外臨床研究ネットワークの情報収集を行った。さらに感染症に関連する免疫レパトアデータの集積と利活用の実態について調査を行った。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑧疾患に対応した研究＜新興・再興感染症＞

期間実績評価

③ 研究者育成、人的交流、国際連携等に資する活動

③-1 若手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。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。

③-2 若手育成を柱とするJ-PRIDEの試みとして、若手研究者を中心とする合宿や合同研究発表会、研究成果発表会を開催し、異分野間の連携や議論を促進し若手研究者の育成を進めた。2017年12月に第1回日英ワークショップを英国で開催、2019年1月には第2回日英ワークショップを東京で開催し、この取り組みにより実現した日英共同研究に迅速に追加支援を行い、若手研究者の英国派遣や最先端技術習得等の機会提供につなげた。これらの実績を踏まえ、国際事業SICORPによる日英共同公募に橋渡しを行い、日英協力の持続的発展に道筋をつけた。若手データサイエンティスト育成が促進され、2020年に米国の機関で開催されるData Science Summer Institute(DSSI) への大学院生派遣を決定、若手への機会提供に貢献した。

③-3 新興・再興感染症事業において、平成30年度の公募から、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、国際的な人材育成のために国際レビューア（候補者51名の確保）を導入し、応募のための提案書の一部を英語化した。採択した研究者7名の研究課題を支援した。

③-4 研究者間の人的交流の推進のため、J-GRID市民向け報告会、支援課題主催のサイエンスアゴラ出展や市民公開講座等の開催を支援した。

③-5 薬剤耐性（AMR）対策に資する研究支援の強化を図るため、AMED内では創薬戦略部、医薬品研究課、AMED外では厚生労働省、製薬協、感染症学会、PMDA等との連携を進めた。そうした積極的活動の結果として、AMRシンポジウム（2017年9月、2019年5月）、及びヨーロッパのInnovative Medicines Initiatives (IMI)の専門家を迎えてのワークショップを開催（2018年2月）した。

③-6 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、産学官の連携に加え、ブラジル研究機関との国際協力を推進、国際ワークショップを2回開催した。また、ブラジルに研究者を派遣、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。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についても、現地との連携を推進した。結核を中心としたグローバル感染症国際シンポジウム開催、重症熱性血小板減少症候群（SFTS）に対する日本・中国・韓国合同ワンヘルスシンポジウムを支援した。J-GRIDの長崎大ベトナム拠点はNIHE(国立衛生疫学研究所)と連携しベトナム初の新型コロナウイルス分離に成功し、WHOの依頼で長崎大熱帯医学研究所にて陽性確認試験を実施した。

③-7 GloPID-Rの活動として、年次総会出席、GloPID-R Newsletter等での情報発信、2019年度GloPID-R総会ホスト、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た。さらに新型コロナウイルスに関して、WHOとGloPID-Rが共同で開催したフォーラムに参加し、研究開発ロードマップをまとめた。JPIAMRの活動として、 Virtual Research Institute (VRI)に参加し、JPIAMR主催のワークショップに研究者を派遣した。またJPIAMR加盟機関によるAMR研究課題のマッピングとその公開にも協力した。日本の研究者を海外ネットワークにつなげ、数学やAIなど新たな視点によるAMR研究推進の取り組みにも貢献した。

③-8 ジカ熱流行（2016年10月）、エボラ出血熱流行（2018年6月）、新型コロナウイルス流行（2020年1月）に際し、GloPID-Rの呼びかけを通じて、世界の研究支援機関や学術出版社との連携によるデータシェアリングの声明に署名した。

④ 成果目標達成状況（評価指標）

*令和元年度までの達成状況を一部抜粋

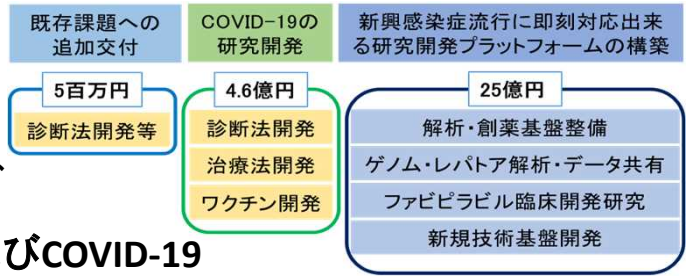
【2020年までの達成目標】 ・得られた病原体（インフルエンザ、デング熱、下痢症感染症、薬剤耐性菌）の全ゲノムデータベース等を基にした、薬剤ターゲット部位の特定及び新たな迅速診断法等の開発・実用化	• 得られた病原体のデータベース拡充と利活用、多剤耐性菌感染症に有効な新規抗菌薬の候補物質を見出し、創薬戦略部に課題を橋渡しし、新規抗菌薬の導出に向けて開発を進めた。 • ジカウイルスについて、LAMP迅速診断キットの製造販売承認を取得、イムノクロマト迅速診断キットの開発に向けて臨床性能試験を実施した。 • MBL阻害活性が強化された新規化合物であるX2化合物を取得し特許出願した。 • 新型コロナウイルス感染症の流行に即応する社会的緊急性に応じた研究開発実施のため、ワクチン・診断法・治療法開発に係る研究支援を行った。
【2020年までの達成目標】 ・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	• 第1世代ノロウイルスワクチンシーズに関する企業とのライセンス契約締結（企業導出）が完了。次世代ノロウイルスワクチンシーズプラットフォームの技術の特許出願を行った。 • 経鼻インフルエンザワクチンの企業治験（第III相）を完了、導出先企業が製造販売承認取得に向け準備中。
【2030年までの達成目標】 ・新たなワクチンの開発 （例：インフルエンザに対する万能ワクチン等）	• エボラウイルスワクチンの非臨床試験を完了し、第Ⅰ相臨床試験を開始。 • ジカウイルスワクチンの第I相企業治験を実施。 • 多剤耐性結核に対する新規治療用DNAワクチンの医師主導治験を開始。 • 新規全粒子インフルエンザワクチンのⅠ・Ⅱ相臨床試験（企業治験）を完了し、Ⅲ相試験準備中。
【2030年までの達成目標】 ・新たな抗菌薬・抗ウイルス薬等の開発	• デングウイルスに阻害効果を示す化合物のｽｸﾘｰﾆﾝｸﾞにてヒット化合物を選抜し合成展開と活性評価実施し、更に新たなﾗｲﾌﾞﾗﾘｰでの活性評価実施。 • 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（日本及び国際）。 • イソニアジド耐性菌検出用キットの評価試験完了。今後リファンピシン検査用キットの評価試験を経て、現場実装の準備中。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑧疾患に対応した研究＜新興・再興感染症＞

令和元年度評価　期間実績評価

①-1　社会的緊急性に応じた新型コロナウイルス感染症（COVID-19）対策に資する機動的な研究開発支援

（令和元年度実績）　COVID-19に関して、速やかな研究開発が必要な状況にある社会的緊急性に鑑み、政府全体の取組の一部として、健康・医療戦略室及び厚生労働省と調整し、診断法開発、治療法開発、ワクチン開発について研究開発課題の支援を行った。また、その後の同感染症流行状況及び研究開発進捗と課題などを考慮し、同感染症流行に即応する研究開発を進めるとともに、新たな感染症流行に即応出来る研究開発プラットフォーム構築支援を行った。



- **GloPID-R総会開催・WHO/GLoPID-R COVID-19研究開発フォーラムへの招待およびCOVID-19対策研究データシェアリング声明への署名**

  GloPID-R2019年総会をホスト開催した積極的貢献を皮切りに、2020年2月にWHOとGloPID-Rの共催によるCOVID-19研究開発フォーラムに招待され、緊急対応についての意見交換、議論に参加した。また、COVID-19に関連する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。

- **COVID-19迅速診断系の開発**

  COVID-19の研究開発支援により、LAMP法による新型コロナウイルス核酸検出キットが開発され保険適応された。ELISA法とイムノクロマト法を用いて、新型コロナウイルス患者血清中に含まれる抗ウイルス抗体（IgG）の検出に成功した。



いずれの方法でも新型コロナウイルス患者血清の抗体価の検出が可能

- **COVID-19に対する臨床研究支援**

  COVID-19患者に対するファビピラビルおよびシクレソニドの臨床研究を機動的に支援した。

- **COVID-19流行予測モデリング支援**

  「感染症対策に資する数理モデル研究の体制構築と実装」（北大・西浦教授）への支援によりCOVID-19流行予測を加速させた。

- **J-GRIDベトナム拠点にて、ベトナム初の新型コロナウイルスの分離に成功。**

  アジア拠点と緊密に連携しCOVID-19に緊急かつ柔軟に対応。ベトナム拠点はNIHEと連携し武漢・帰国者検体から分離に成功、全ゲノム解析実施。

- **J-GRID中国拠点にて、ナファモスタット（急性膵炎存薬）を新型コロナウイルスの感染阻害剤として同定。**

  中国拠点では、J-GRIDで同定したナファモスタットについてCOVID-19の低濃度での膜融合阻害を見出し、近く臨床研究を開始予定。

- **J-GRIDのアジア6研究拠点のネットワークを活用した新型コロナウイルス緊急研究を科研費にて助成。**

- **SARS、MERS対策研究成果の利活用**

  新興再興感染症制御プロジェクトにて行ってきたSARSおよびMERS対策研究のリソースの利活用により、COVID-19対策研究を加速させた。

- **新型コロナウイルスの研究情報の発信**

  AMEDのHPにCOVID-19対策研究に関する特設ページを作製し、日本語および英語による情報発信を積極的に行った。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑧疾患に対応した研究＜新興・再興感染症＞

令和元年度評価

①-1 J-GRID ベトナム拠点にて、ベトナム初の新型コロナウイルスの分離に成功

- 2020年初にベトナム北部でCOVID-19疑い例の報告があり、J-GRID長崎大学のベトナム拠点がNIHE（国立衛生疫学研究所）の依頼により、診断用リアルタイムRT-PCR法を導入した。その後、ベトナム政府の検疫対応により、中国武漢市から帰国したベトナム人の一次感染者6名と二次感染者6名を確認。NIHEとベトナム拠点が連携して臨床検体をBSL3実験室（JICA無償援助）にて解析した結果、ベトナム初のウイルス分離に成功。さらにWHO依頼により同大熱帯医学研究所にて陽性確認試験を実施した。
- 今後は、分離されたウイルス株やNGS解析で得られたウイルス遺伝子の情報を活用して、熱研において診断薬や治療薬の共同研究を行い、診断系の精度評価はベトナム拠点＋NIHEに保管の血清を利用する等、研究の一層の推進が期待される。



①-2 万能インフルエンザワクチンへの応用に向けた様々なインフルエンザを防御する抗体誘導法の開発

- 現行のインフルエンザワクチンは、異なるインフルエンザ亜型への有効性が低く、季節性インフルエンザ、鳥インフルエンザ共に有効な、様々なA型インフルエンザ亜型を防御するヘマグルチニン抗体（交差防御抗体）を誘導しにくく、すべての亜型のインフルエンザウイルスに効果のある次世代ワクチンの開発が望まれている。本研究では、様々なインフルエンザウイルスを防御可能な抗体が隠れた抗原領域を認識することを発見し、この抗原領域を酸性処理により露出させた改変型抗原の作製に成功した。この改変型抗原をワクチンとしてマウスに接種すると、ヒト交差抗体が誘導され、その抗体が季節性・鳥インフルエンザを含む複数の亜型をカバーし感染を防御する事を確認した。様々なインフルエンザ亜型に有効な万能インフルエンザワクチンの開発につながると期待される。（Nature Communications, August 28, 2019. DOI 10.1038/s41467-019-11821-6）

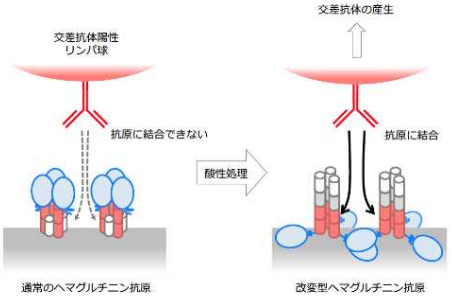


図 ヘマグルチニン抗原に酸性処理を行うと改変型に構造変化し、通常隠れている交差防御抗体の抗原領域が露出

①-3 気道上皮組織でインフルエンザウイルスを感知する病原体センサータンパク質の発見

- 気道上皮細胞へのウイルス感染を特異的に認識する分子メカニズムは不明であったが、病原体センサー分子として、MxAがウイルスタンパク質を認識して、炎症性サイトカイン（IL-1β）の酸性を制御し、感染早期での生体防御応答を引き起こすことを明らかにした。ヒトへ感染する能力を持った新型インフルエンザウイルスは、MxAに対する耐性変異を獲得しており、新型インフルエンザウイルスの出現メカニズムの解明が期待される。（Science Immunology, October 25, 2019. DOI: 10.1126/sciimmunol.aau4643）

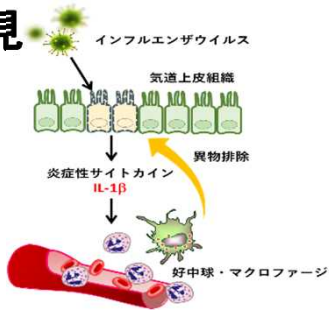


図 ウイルス感染による炎症応答

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑧疾患に対応した研究＜新興・再興感染症＞

令和元年度評価

①-4 エボラ出血熱に対する次世代ワクチンの開発 第I相臨床試験実施

- エボラウイルスの増殖にとって必須のウイルス蛋白質VP30をコードする遺伝子を欠損させた変異エボラウイルス（エボラΔVP30ウイルス）を作製．エボラΔVP30ウイルスは、通常の細胞では増殖せず、VP30蛋白質を発現する人工細胞でしか増殖できないため、高い安全性が期待できる．さらにエボラウイルスのほぼ全てのウイルス蛋白質を有するため、ワクチンとして高い有効性が期待できる．安全性をさらに高めるため、本ウイルスを不活化させ、不活化後に不活化剤を除去し、完全に感染力を失ったものをワクチンiEvac-ZとしてGMP準拠製剤として製造。エボラワクチンとして第I相臨床試験をFirst in Humanにて実施。（令和元年12月5日プレスリリース）

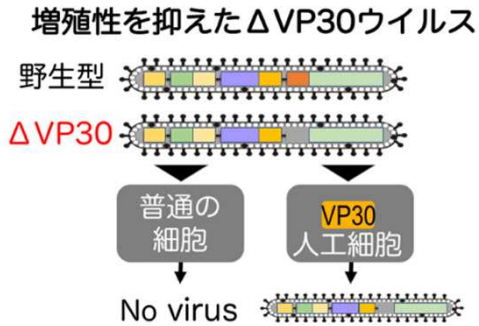


図 エボラウイルス遺伝子がコードする転写活性化因子VP30は、エボラウイルスの増殖に必須の蛋白質． エボラΔVP30ウイルスは、VP30をコードする遺伝子を欠損させ、人工的に作製した遺伝子組換えウイルス．普通の細胞では増えず、VP30を発現する人工細胞でのみ増殖可能．

①-5 ウエストナイルウイルスの病態発症機構を発見

- 重篤なウイルス性脳炎を引き起こすウエストナイルウイルスはカプシドタンパク質によりオートファジーを抑制し，このことによるタンパク質の凝集体の蓄積が，中枢神経症状の発症に関与することが示された。ウエストナイルウイルスの感染で起こるオートファジーの抑制機構が完全に明らかになることにより，ウイルス性疾患だけでなく，オートファジーの異常が関与する様々な疾患の病態の解明及び治療法の開発の契機になることが期待される。（PLOS Pathogens, January 24, 2020. DOI 10.1371/journal.ppat.1008238）

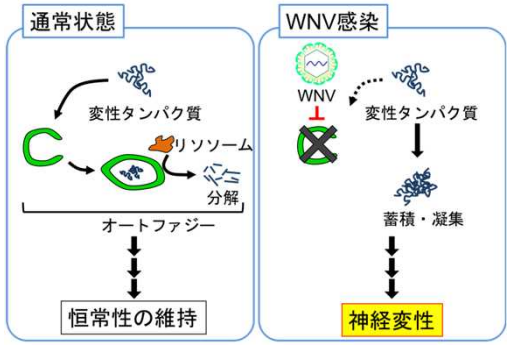
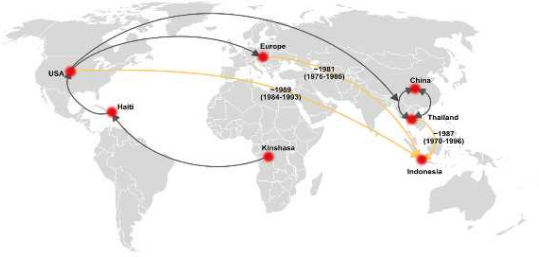


図 オートファジーの抑制によるWNVの病態形成モデル

①-6 インドネシアに流行するHIV-1(エイズウイルス） サブタイプB亜種の侵入経路を推定

- インドネシアには3つのHIV-1サブタイプB亜種(HIV-1B)の系統群※3が存在すること、国内で独自に進化したと考えられるインドネシア系統群に加えて、中国系統群と米国系統群が存在することを明らかにした。
- インドネシアで流行するHIV-1Bは、近隣国タイやヨーロッパ諸国、米国から1970-80年代に侵入したことが推測された。また、その一部は近隣アジア諸国やヨーロッパ諸国に伝播していることが示唆された。（Scientific Reports volume 9, Article number: 13986 (2019) ）



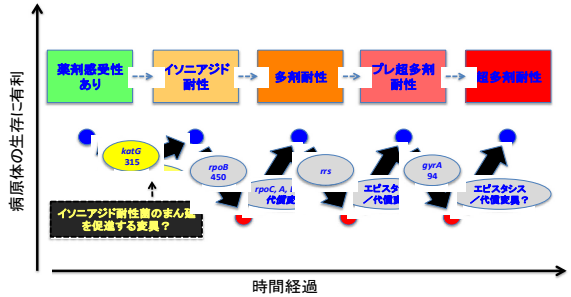
世界的なHIV-1サブタイプB亜種(HIV-1B)の伝播推移

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑧疾患に対応した研究＜新興・再興感染症＞

令和元年度評価

①-7　ベトナムに広がる結核の特徴と危険因子をゲノムレベルで解明－外国生まれ結核患者の増加を背景に

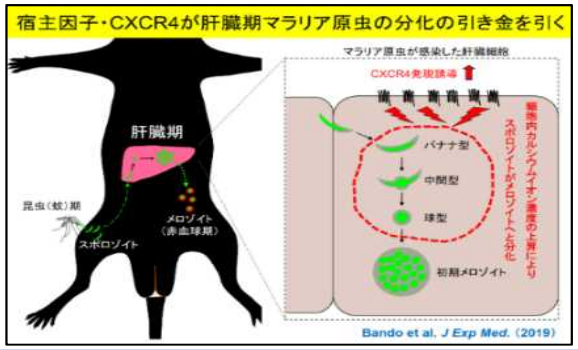
- 多剤耐性結核への移行段階として重要なイソニアジド耐性（katG-S315T）菌の広がりに関連する病原体因子を複数同定した。
- ベトナム、ハノイ市にまん延する第１、第2、第４系統の結核菌の特徴、特に第２系統である北京型株のまん延状況を明らかにした。
- 古典的結核菌型別法と全ゲノムシークエンスデータと直接比較して、ハノイ市に広がる結核の過去、現在の姿を明らかにした。（Scientific Reports volume 9, Article number: 15354 (2019) ）



Müller B ら. Trends Genet. 2013を改変

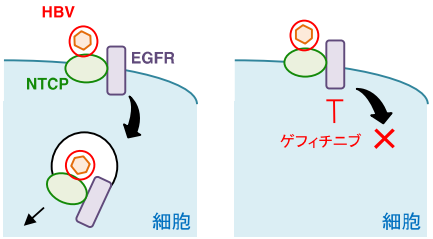
①-8　マラリア原虫の増殖に関わる宿主因子の解明

マラリア原虫は、蚊を媒介して宿主に侵入し、肝臓を経て赤血球に感染、増殖することでマラリアを引き起こすことが知られているが、肝臓で起きる原虫の分化メカニズムは不明である。
本研究では、その解明に取組み、肝細胞では宿主因子のCXCR4依存的にマラリア原虫の形態変化が起きることを見出した。さらに、この形態変化がCXCR4の発現増強による細胞内カルシウムイオン濃度の上昇によって誘導されることを明らかにした。（Journal of Experimental Medicine, 令和元年8月5日付）。



①-9　B型肝炎ウイルスの細胞内侵入経路の解明

B型肝炎ウイルス（HBV）は、肝細胞表面に存在するナトリウムタウロコール酸共輸送体(NTCP)に結合することで標的肝細胞に吸着、細胞内に侵入することで感染を成立させるが、この侵入メカニズムは不明である。
本研究では、独自のHBV感染実験系を用いて、上皮成長因子受容体(EGFR)がHBVの細胞内侵入を媒介することを明らかにした。Proceedings of the National Academy of Sciences of the United States of America （PNAS), 令和元年4月23日付）



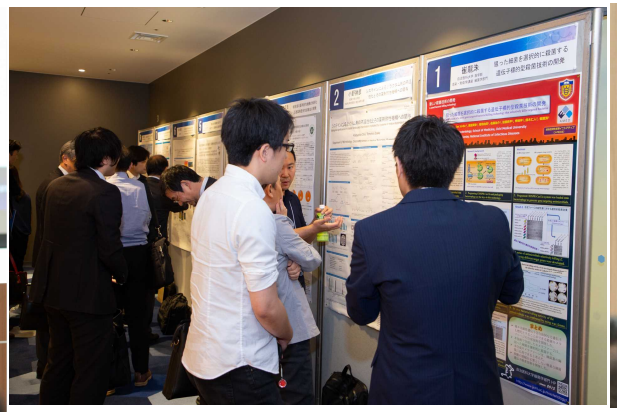
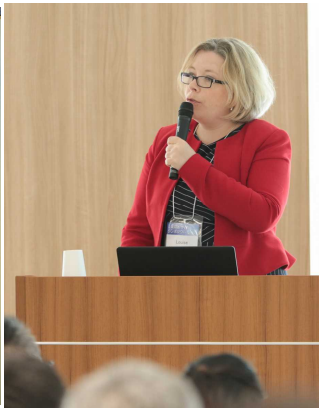
BV細胞内侵入モデル図（左絵）とその阻害方法（右絵）。HBVは受容体NTCPと結合した後、受容体共役因子EGFRと共に細胞内へ侵入する。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑧疾患に対応した研究＜新興・再興感染症＞

令和元年度評価

②-3、③-4　AMRシンポジウム開催による情報共有および意見交換

- 今般、薬剤耐性(AMR)は依然として世界中の大きな問題となっていることから、薬剤耐性問題の克服に向けて、国、医療者、患者等様々なプレーヤーが本課題に真剣に取組を進めることに向けて、第2回目AMRシンポジウムを開催した。今回は、英米両政府から専門家を招きAMR創薬に係るPush/Pull Incentiveなどについての情報提供を受けると共に、前回同様アカデミアや企業等の研究者間の情報共有、さらには産学連携の機会促進を図り、関連団体や研究機関から講演者を招き、意見交換を行った。

③-5　J-GRID「アジア・アフリカ リサーチフォーラム2019」にて9拠点から研究成果発表・意見交換

・J-GRIDのアジア・アフリカ9拠点及び国内から200名以上の研究者が北海道大学に集まり(約1/3が海外から参加)、2日間、ノロウイルスやコレラ菌の不顕性感染発見、デング熱迅速診断キット開発、多剤耐性結核治療薬候補など最先端の研究成果の発表(口頭40件・ポスター97件)と意見交換を行った。新たな視点の示唆や拠点間の人脈形成を通じて、グローバルな研究ネットワーク形成を探る有意義な機会となり、令和2年度新規事業の海外拠点研究や海外拠点活用研究へのステップアップが期待される。






Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑧疾患に対応した研究〈新興・再興感染症〉

期間実績評価

①-1 ノロウイルスワクチンシーズの企業導出

- ウイルス様中空粒子（VLP）を用いたノロウイルスワクチンの開発を行い、複数の「ノロウイルスVLPを作出可能な組換えバキュロシードウイルス」とそれぞれの「ノロウイルスVLPを特異的に認識するモノクローナル抗体を作出するハイブリドーマ」から構成される“ノロウイルスワクチンシーズ”の企業導出を行った。（2018年10月）
- 同グループが開発・公開したノロウイルスの流行予測プログラム“NoroCast”を用いて、シーズン毎の流行遺伝子型を予測し、その遺伝子型のVLPを“ノロウイルスワクチンシーズ”から選択し、混合するワクチンの開発が可能となる。

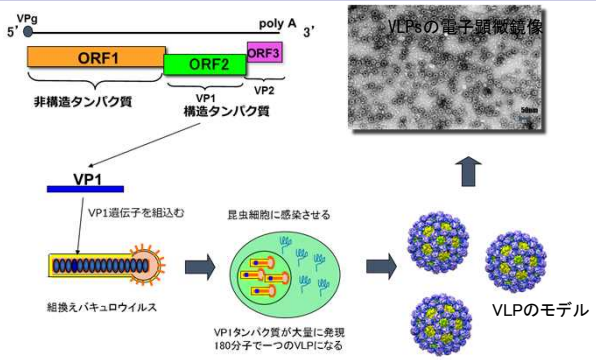
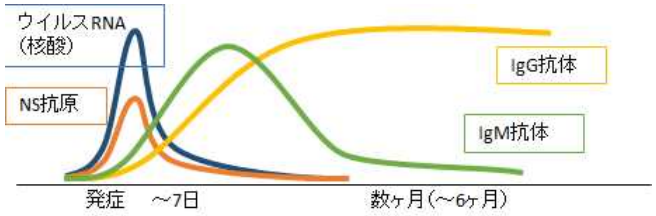


図. ワクチンシーズVLP作製方法

①-2 ジカウイルス感染症の迅速診断キットの製造販売承認取得

- 平成27-28年に中南米で流行したジカウイルス感染症について、ウイルスRNAを検出するRT-LAMP法を応用した簡便で迅速な診断キットを開発し、ブラジルでの臨床性能試験を実施後、平成30年6月に製造販売承認を取得した。




ジカウイルス検出用診断キットの一部
（等温増幅蛍光検出装置）

①-4 世界基準の季節性インフルエンザワクチンの開発と実用化

- 現行の季節性インフルエンザワクチン（HA ワクチン）は、免疫誘導能が低いため、小児と高齢者の発症と重症化を防ぐ効果を期待し難い。北海道大学と全日本インフルエンザワクチン研究会の連携により、HAワクチンよりも遥かに優れた発症予防効果が期待できる安全な不活化インフルエンザウイルス全粒子ワクチンを開発し、産・学・官連携のプロジェクトとして実用化することを目的とする。
- 企業治験の第Ⅰ/Ⅱ相臨床試験は完了し、現在免疫原性試験を継続中。今後はPMDAと第Ⅲ相試験の協議予定で、研究計画は大幅に進捗した。

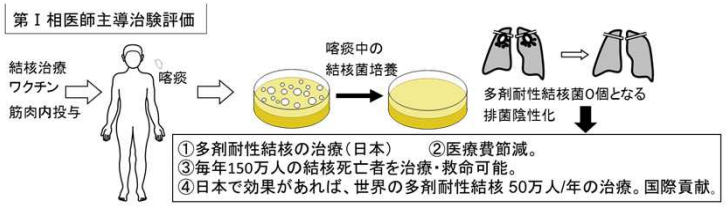


Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑧疾患に対応した研究〈新興・再興感染症〉

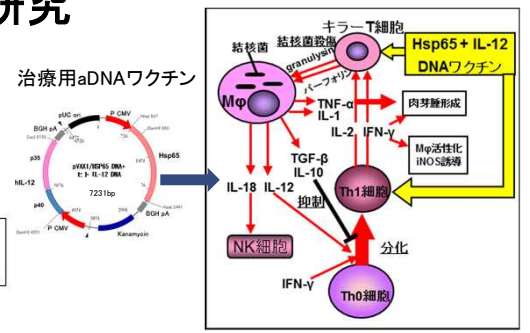
期間実績評価

①-5　多剤耐性結核に対する新規治療用DNAワクチンの開発・実用化に向けた研究

- 多剤耐性結核に対する新規治療用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3施設医師主導治験実施の準備のため、大阪大学IRB申請を行い、PMDAへ治験計画届出を行った（平成31年2月）。
- 2019年度は、First In Human にて第Ⅰ相医師主導治験を実施する予定。



図：期待される効果と第Ⅰ相医師主導治験評価

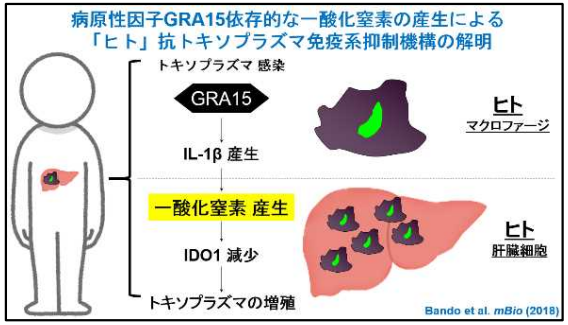


図：ワクチンの薬理効果メカニズム

①-7　トキソプラズマ症におけるヒトでの免疫応答抑制による新規病原性機構の発見

AMED理事長賞受賞 授賞成果

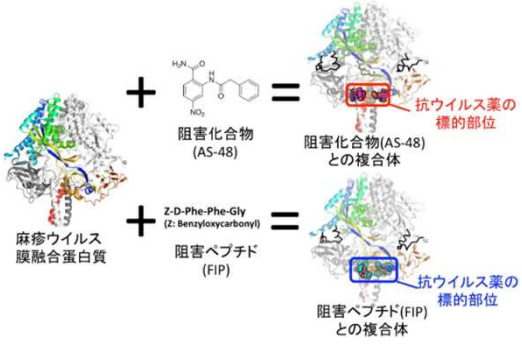
- トキソプラズマの病原性因子GRA15によって、宿主免疫系が強制的に活性化され一酸化窒素（NO）を産生させられることで、ヒトの抗トキソプラズマ免疫を抑制することを新規の病原性機構を発見。本研究成果により、トキソプラズマ感染時に起きるNOの産生を阻害すれば、トキソプラズマによる免疫抑制作用を回避できることを示唆しており、「ヒト」トキソプラズマ症の新規の治療戦略を提供できると期待される（mBio. DOI: 10.1128/mBio.01738-18 2018）。



①-7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

AMED理事長賞受賞 授賞成果

- 高い感染力と一過性の強い免疫抑制を特徴とし、低頻度ながら難病指定されている致死性の脳炎（亜急性硬化性全脳炎(SSPE)）を引き起こすことがある麻疹ウイルスに対し、ウイルス学的手法と構造生物学的手法・コンピュータ科学計算・生化学的手法を組み合わせて研究を行い、異なる2つの阻害剤（化合物およびペプチド）が ウイルス膜融合蛋白質Fの特定の領域に同じように作用して感染を阻害する感染阻害効果を示す阻害剤の作用メカニズムを解明した。（Proceedings of the National Academy of Sciences of USA, March 6, 2018. 115 (10) 2496-2501）



Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑧疾患に対応した研究〈新興・再興感染症〉

期間実績評価　①-7　2年連続でのAMED 理事長賞（日本医療研究開発大賞）受賞研究者の輩出

・医療分野の研究開発の推進に多大な貢献をした事例に関して、功績を称えることにより、国民の関心と理解を深めるとともに、研究者等のインセンティブを高めることを目的として設置された日本医療研究開発大賞のうち、45歳以下の若手研究者を対象としたAMED理事長賞を2年連続で輩出。

日本医療研究開発機構（AMED）理事長賞

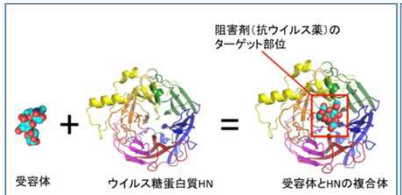
H29　抗ウイルス薬及びワクチン開発に繋がるウイルス・受容体・抗体の構造基盤解明

<受賞者名>
・橋口　隆生（九州大学大学院医学研究院　准教授）

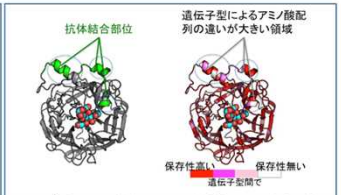
<功績>
橋口氏は、麻疹ウイルス、ムンプスウイルス、エボラ・マールブルグウイルスについて、ウイルス・受容体・抗体の構造を原子レベルの分解能で可視化することに成功し、その構造の基盤解明に尽力した。橋口氏の研究は、抗ウイルス薬やワクチン開発の推進に多大な貢献を果たした。

<概要>
麻疹ウイルス、ムンプスウイルス、エボラ・マールブルグウイルスは、麻疹（はしか）、流行性耳下腺炎（おたふくかぜ）、エボラ・マールブルグ出血熱といった感染症を引き起こす病原体である。これらの感染症は、今もなお、小児や途上国を中心に流行を繰り返している。
橋口氏は、これらのウイルスとその受容体・抗体の結合構造を原子レベルで明らかにし、ウイルス感染症の病態解明、ウイルスの細胞侵入メカニズムや抗体による中和メカニズムの解明に精力的に取り組んできた。
このような橋口氏が取り組んできた構造基盤の解明に関する研究は、ウイルス感染症に対する抗ウイルス薬、ワクチン、抗体医薬の開発に繋がることが期待される。橋口氏は現在、これらウイルスに対する感染阻害剤の探索研究にも着手しており、治療薬開発を推進している。

<参考> 抗ウイルス薬及びワクチン開発に繋がるウイルス・受容体・抗体の構造基盤解明の例



原子レベルで明らかとなった細胞表面受容体とムンプスウイルス表面にある糖蛋白質HNの結合構造



ムンプスウイルス感染やワクチン接種によって出来る抗体は、遺伝子型によるアミノ酸配列の違いが大きい領域に結合することを解明

・流行性耳下腺炎（おたふくかぜ）の原因ウイルスであるムンプスウイルスの受容体構造の解明
・既感染者やワクチン接種者の一部がムンプスウイルスに感染する理由解明への手がかりを発見

PNAS 113 41:11579-11584. 2016

AMED理事長賞

H30　宿主免疫系による病原性寄生虫感染症の制御機構の解明

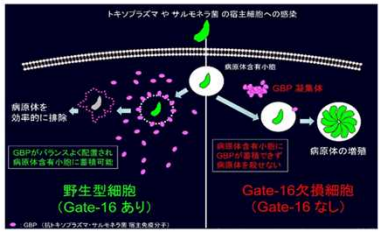
<受賞者>
山本　雅裕（大阪大学微生物病研究所　教授）

<功績>
山本氏は、最先端の寄生虫免疫学の研究から、トキソプラズマ原虫による感染症をモデルに、原虫感染症に対する防御機構、また、原虫による免疫抑制機構を解明した。これらの取組みは、原虫感染症克服のための新たな治療戦略に多大な貢献を果たすとともに、新しい微生物学、免疫学の領域を切り拓いている。

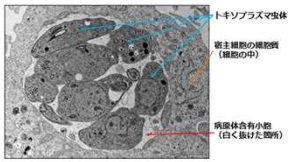
<概要>
トキソプラズマ原虫は、土壌や水、食肉などを介してヒトに経口感染する。世界的には全人類の約1/3での感染が推測され、健常者が感染した場合には、顕在化しないか一過性に発熱する程度だが、免疫不全者では致死的となることもある。
山本氏は、病原性寄生虫トキソプラズマ原虫による感染を宿主免疫系が制御するメカニズム、また逆に高病原性トキソプラズマ原虫が宿主免疫系を抑制するメカニズムを、免疫学と寄生虫学を融合した最先端の寄生虫免疫学で明らかにした。
トキソプラズマは感染すると「病原体含有小胞」を作り、小胞内で増殖するが、同氏は、Gate-16分子がインターフェロンに依存して働く抗病原体因子GBPの発現を増強することで、小胞の破壊・内部の病原体の殺傷が起き、発病を抑えることを見出した。同氏による宿主自然免疫系のメカニズム解明は、創薬を含む感染症対策のためのシーズや新たな治療戦略の分子基盤を提供することが期待される。

<参考>

宿主分子Gate-16（ゲート16）の役割：
インターフェロン誘導性の病原体排除の効率を大幅にアップする。



電子顕微鏡写真：
「病原体含有小胞」に包まれたトキソプラズマ



（Nature Immunology. Vol. 18, pp.899-910, 2017）






H29年
第1回授賞式






H30年
第2回授賞式

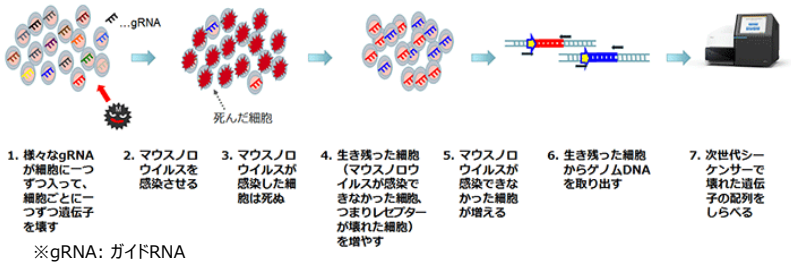
Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑧疾患に対応した研究〈新興・再興感染症〉

期間実績評価

①-9 ノロウイルスワクチンの開発につながるマウスノロウイルス感染受容体(レセプター)の発見

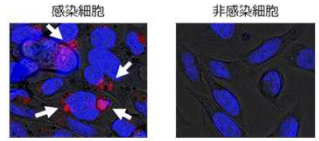
- マウスノロウイルスの感染受容体(レセプター)が、CD300lfまたはCD300ldというタンパク質であることを発見し(図1)、ノロウイルスの感染の仕組みを世界で初めて解明(図2)した。この成果を応用したマウスモデル確立により、ヒトノロウイルス感染に対するワクチンや治療薬開発の加速が期待される。(PNAS 2016 Sep. 26;113(41): E6248-E6255.)

感染受容体(レセプター)の遺伝子の見つけ方 (図1)



※gRNA: ガイドRNA

マウスノロウイルスのウイルス感染の様子 (図2)



マウス由来CD300lfを導入したサルの細胞 (COS7)

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

①-10 中東呼吸器症候群(MERS)コロナウイルスの感染阻害剤の同定

- 原因ウイルス(MERSコロナウイルス)の膜融合をウイルスを使用せずに再現し、その候補阻害剤を高効率にスクリーニングできる測定系(右図)を構築した。
- ウイルス感染初期過程を効果的に阻害する薬nafamostatを見出した。(Antimicrob Agents Chemother. 2016 Oct 21;60(11):6532-6539.) nafamostatは既に他疾患で臨床使用されている薬剤であることから、中東呼吸器症候群に対する治療への速やかな応用が期待できる。





推定されるMERS-CoVの感染サイクル

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

①-11 高病原性鳥インフルエンザH5N1ウイルスに対する抗体保有状況の解明

- 2012年より5年間に渡るインドネシア生鳥市場従業員における鳥インフルエンザウイルス感染の疫学調査を行い、H5N1ウイルスに極めて濃厚に暴露している生鳥市場従業員101人のうち84%が陽性だったことが分かり、発症していない感染者が多く存在することが解明された。一方、抗体陽性者の一部から、季節性インフルエンザの遺伝子が検出されたことから、鳥インフルエンザと季節性インフルエンザの混合感染が起きれば、新型ウイルス発生の可能性があることも示唆された。 (J Infect Dis. 214, 12 1929-1936, 2016)







インドネシア生鳥市場家禽 **高病原性H5N1ウイルス**

↓

従業員84%感染 **不顕性感染**

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑧疾患に対応した研究〈新興・再興感染症〉

期間実績評価

①-12　ベトナムにおけるジカ熱の流行とジカウイルス感染に起因する小頭症例の証明

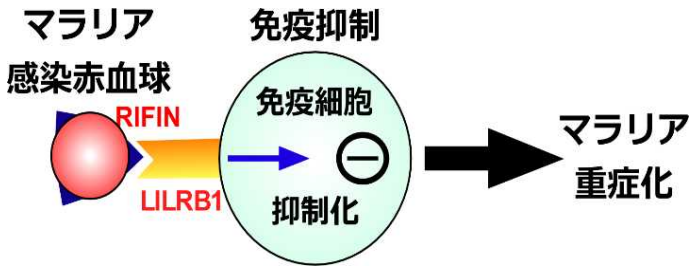
- 2016年3月にベトナム南部におけるジカウイルス感染症の流行を確認し、10月にはベトナム中央高地のDak Lak省で見つかった新生児の小頭症例が血清学的診断結果から東南アジアで最初のジカウイルス感染による小頭症であることを証明した。(The Lancet Infectious Diseases, 2017 Aug;17(8):805-806.)



脳組織細胞石灰沈着

①-13　熱帯熱マラリア原虫のヒト免疫応答抑制による重症化分子メカニズム解明

- マラリア原虫は動物の体内では主に赤血球に感染し、赤血球内で増殖する。熱帯熱マラリア原虫のRIFINというタンパク質が感染した赤血球上に発現し、LILRB1という免疫応答を抑制する受容体に結合することを見出し、さらに、RIFINが熱帯熱マラリア原虫に対する免疫応答を抑制し、その結果、重篤な感染症が引き起こされることを発見した。
- 本研究によって、マラリア原虫には抑制性の免疫受容体(抑制化受容体)を利用して免疫応答を抑えるという新たなメカニズムが存在し、その免疫抑制機構がマラリア重症化に関与していることが世界で初めて明らかになった。(Nature 552:101-105 2017)



①-14　ダニ媒介性脳炎ウイルスによる中枢神経症状発症メカニズム解明

- 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。このウイルス遺伝子RNA輸送機構を応用し、樹状突起内RNA輸送の障害による中枢神経疾患を治療するための新規ウイルスベクター開発が期待される(PNAS, 114, 37:9960-9965 2017)。

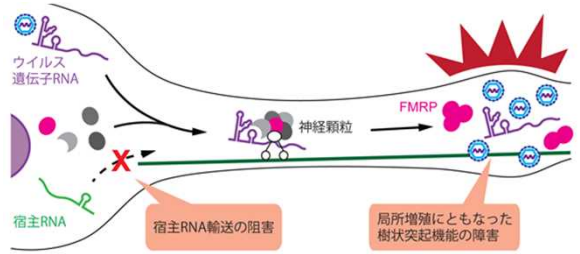


図. 新規のウイルス神経細胞内増殖および病態モデル

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑧疾患に対応した研究<新興・再興感染症>

期間実績評価

①-15　高病原性H7N9鳥インフルエンザウイルスの哺乳類間飛沫感染による感染伝播の証明

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

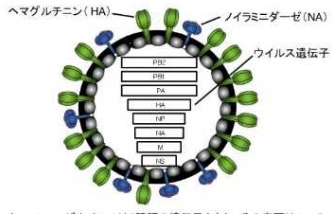


図. A型インフルエンザウイルスの模式図
表面のHAが動物細胞の表面にあるレセプターと結合することで感染が開始される

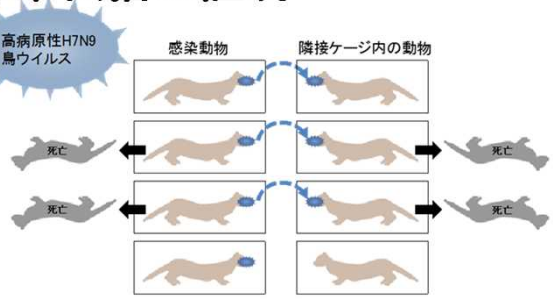


図. フェレットを用いたウイルス感伝播染実験

①-16　エボラ出血熱の重症化メカニズムを解明、予後を予測するためのバイオマーカー同定

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

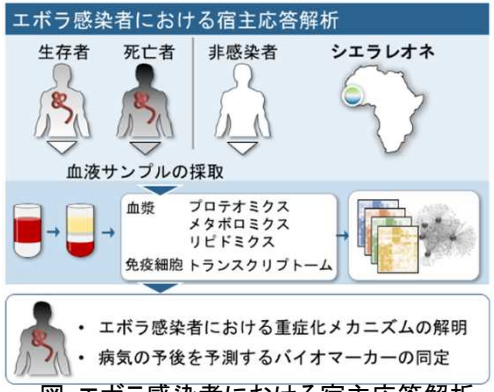
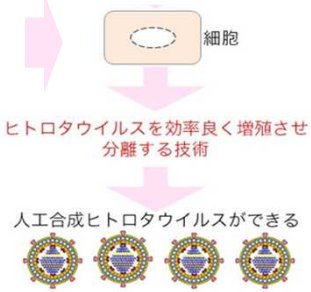


図. エボラ感染者における宿主応答解析

①-17　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成功

- 乳幼児に重篤な下痢症を引き起こすロタウイルスについて、ヒトロタウイルスの11本の遺伝子のうち、NSP2とNSP5遺伝子を他の9本の遺伝子の3倍量にして、さらに、ロタウイルス胃腸炎患者便中のウイルスを効率良く分離する技術（高濃度のトリプシン添加と回転培養）を利用することでリバースジェネティクスを構築し、ヒトロタウイルスを人工合成することに成功した。この研究成果により、ヒトロタウイルスの遺伝子を自由自在に改変することが可能となった。自然なヒトロタウイルスの感染、増殖の機構を再現できるため、ヒトに対する安全性に優れた次世代ワクチンや治療薬開発への応用が期待される（Journal of Virology, JVI.02207-18 2019）。



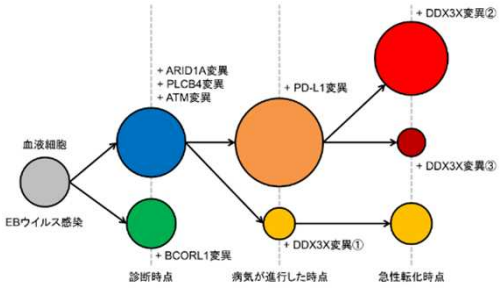


Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑧疾患に対応した研究〈新興・再興感染症〉

期間実績評価

①-18　慢性活動性EBウイルスが血液がんを引き起こす仕組みを解明

- 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。発がんの仕組みが明らかにされたことで、様々な合併症を引き起こす難病である慢性活動性EBウイルス感染症の治療法開発の進展が期待される。若手を中核としたチームによる異分野連携に基づく成果の創出（Nature Microbiology, 平成31年1月21日付）。



EBウイルス感染細胞に生じた突然変異（一例）

①-19　インフルエンザの予防に重要な分泌型IgA（SIgA）抗体の四量体型SIgA抗体作製技術開発

- インフルエンザの予防に重要な分泌型IgA(SIgA)抗体について、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になった。本研究成果により臨床開発の一層の加速が期待されるとともに、本技術は新たな抗体医薬のプラットフォームとしても応用が期待される（PLOS Pathogens., DOI：10.1371/journal.ppat.1007427 2019）。

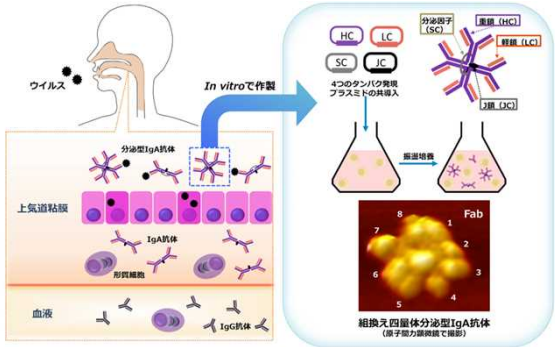


図. 四量体SIgA抗体作製技術

①-22　RSウイルスの抗原タンパクのアミノ酸置換による抗原性変化が、再感染の原因である可能性を示唆

- フィリピンでの疫学調査によって、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。Fタンパクのアミノ酸置換部位はRSウイルスのワクチン開発等で現在最も注目されている部位であり、抗ウイルス抗体製剤やワクチン等の抗ウイルス効果に影響を及ぼす可能性がある（Journal of Infectious Diseases, 平成30年5月2日付）。

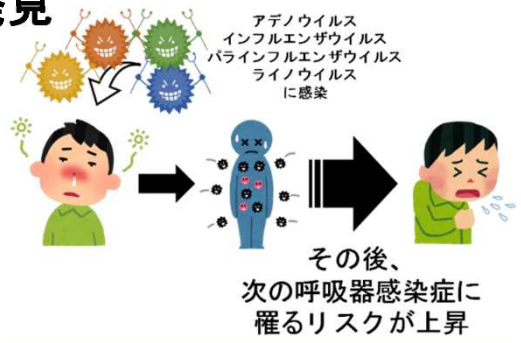


Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑧疾患に対応した研究〈新興・再興感染症〉

期間実績評価

①-23　特定のウイルスに感染した後、呼吸器感染症のリスクが上昇することを発見

- フィリピンにおいて2014年～2016年の間に約4,000人の小児を対象に、咳や呼吸困難など呼吸器症状を記録し、さらに症状を呈した場合には鼻咽頭ぬぐい液を採取し、遺伝子検査によって存在するウイルスの種類を調べた。その結果、特定のウイルスに罹患したのちに呼吸器感染症のリスクが高まることを見いだした。これまでに知られていなかった呼吸器感染症の危険因子が明らかになった重要な報告であり、より効果的な患者ケアや疾患予防のための公衆衛生的な対策へと貢献することが期待される。(The Journal of Infectious Diseases Vol. 219, Issue 2, 15 January 2019, Pages 197–205)



③-2　感染症研究革新イニシアティブ(J-PRIDE)（2017～2019）における取り組み
～　日英ワークショップ開催、日英共同研究支援、国際事業SICORPへの橋渡し　～

- 感染症研究革新イニシアティブ(J-PRIDE)は、【拠点形成研究】と【公募研究】の2本の柱で構成され、平成29年度新規事業として開始した。公募研究では229提案から若手研究者の提案を優先的に採択、2017年8月より30課題の支援を行った。強い病原性を持つウイルスやヒトに潜伏・持続感染するウイルス、血液脳関門の破綻を誘導する病原体等によって生じる重症感染症の発症過程と病態を分子レベルで理解し、革新的な医薬品の創出を将来に見据えて、創薬の標的探索につながる基礎からの感染症研究を推進した。
- 若手育成を事業の一つの柱として、平成29年12月に第1回日英ワークショップを英国で開催、平成30年1月には、第2回日英ワークショップを東京で開催した。第2回目は、在京英国大使館の協力を得てAMEDとMRCの共催により実施、日本から12名、英国から12名の感染症研究者が参加した。日英協力の具体的進展を受け、2019年1月の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。
- 具体的な日英共同研究課題に追加支援を行い進捗を確認していく取り組みから感染症分野での日英協力の持続的発展の可能性を見出し、国際事業SICORPの共同公募につなげた。治療薬やワクチン開発を将来に見据えた研究課題の事業間橋渡しとなった。
- 令和2年度にJ-PRIDEがJ-GRIDと発展的に統合される文科新事業の開始に向けて、対策に重きを置く厚労省新興再興感染症事業の研究支援との相補的効果を図り、感染症研究のレベルアップや人材育成を促す基礎研究を重視した公募課題を設定した。


第2回　日英ワークショップ開催





Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑧疾患に対応した研究〈新興・再興感染症〉

令和元年度評価　　期間実績評価

＜成果目標達成状況＞　※Ⅰ(2)①～⑨のみ

KPI【2020年までの達成状況】	① 令和2年3月迄の累積達成状況	②①のうち、令和元年度の達成状況
・得られた病原体（インフルエンザ、デング熱、下痢症感染症、薬剤耐性菌）の全ゲノムデータベース等を基にした、薬剤ターゲット部位の特定及び新たな迅速診断法等の開発・実用化	・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、データベース構築の強化を促進した。 ・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。 ・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。 ・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。 ・新型多剤耐性菌の新規阻害化合物質の探索のため、ゲノムデータベース等を活用し、化合物ライブラリーの中から発見した阻害化合物を解析評価し、より阻害活性が強化された新規化合物を得て、今年度特許出願（国内およびPCT）が完了した。 ・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。 ・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。 ・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。 ・A群連鎖球菌特異的な増殖阻害剤候補分子を数種類見出した。 ・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。	・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各拠点が連携して展開した。 ・国立感染症研究所と北大は、サーベイランスで得られたインフルエンザウイルスの塩基配列情報を公開し、相互に利用できる体制を構築した。新潟大はインフルエンザの遺伝子情報を北大のデータベースに追加し、感染研と共有した。さらに、長崎大学は、ベトナムで分離したH5ウイルスをワクチン候補株や抗原性解析に用いるためにベトナムと折衝して、得られた情報は感染研と共有している。また北大はザンビアの野生動物から、得られたウエストナイル及びボレリアウイルスを分離した結果を感染研の病原微生物検出情報（IASR）に報告して、2019年9月にWEB公開した。 ・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、論文の発表時に順次公開を進めた。 ・新型多剤耐性菌の新規阻害化合物質の探索のため、ゲノムデータベース等を活用しつつ、名古屋大学のトランスフォーマティブ生命分子研究所の保有する数万の化合物ライブラリーの中から、阻害化合物を発見し、その特性を生物学的、物理化学的に解析評価し、化合物より阻害活性が強化された新規化合物を得て、今年度特許出願（国内およびPCT）が完了した。 ・ジカウイルス迅速診断法については、イムノクロマト法を用いた迅速診断キットの開発に向けて令和元年度より海外流行地にて臨床性能試験を実施。製造販売承認申請に向けてPMDA対面助言を準備中。
・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	・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。 ・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。 ・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。	・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ついては、企業導出後、海外における2020年度内の第I相臨床治験に向けて製造準備を進めている。また、次世代ノロウイルスワクチンシーズとして、経粘膜免疫が可能な分子ニードルワクチンと高度弱毒化生ワクチンプラットホームの開発に成功し、それぞれ特許出願を行った。 ・経鼻インフルエンザワクチンについては、企業導出後、令和元年度7月に企業治験（第III相）が完了し、現在承認申請準備中。また、様々なインフルエンザを防御可能な抗体産生を誘導する万能インフルエンザワクチンを開発。候補ワクチンの実用化に向けて企業と連携し、令和元年11月に医療研究開発革新基盤創成事業（CiCLE）にて採択され、支援が開始された。 ・インフルエンザウイルス全粒子不活化ワクチン開発において、PMDA RS戦略相談を経て治験届を提出し、第Ⅰ/Ⅱ相臨床試験は完了し、現在免疫原性試験を継続中で、今後、被験者の各群を比較解析して、PMDAに第Ⅲ相試験につき相談する予定。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑧疾患に対応した研究＜新興・再興感染症＞

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

令和元年度評価

・ジカウイルスに対するワクチン第I相企業治験を完了、ならびにイムノクロマト法を用いた迅速診断キットの国内における臨床性能試験を実施した。First in humanでのエボラウイルスワクチンの臨床試験、結核DNAワクチンの多施設医師主導治験を実施した。新規次世代ノロウイルスワクチンの開発、様々なインフルエンザを防御可能な抗体産生を誘導する万能インフルエンザワクチンの開発を推進した。また、社会的緊急性に応じ、新型コロナウイルス感染症に対する診断法、治療薬、ワクチンの開発研究支援を開始した。これらの感染症対策並びに診断薬、治療薬及びワクチン開発等を一体的に推進したことは高く評価できる。

期間実績評価

・ジカウイルスに対するワクチン第I相企業治験を完了、ならびにLAMP法を用いた迅速診断キットの製造販売承認を取得した。ノロウイルスワクチンの企業導出、経鼻インフルエンザワクチンの企業治験完了（第III相）、およびFirst in humanでのエボラウイルスワクチンの臨床試験、結核DNAワクチンの多施設医師主導治験を実施した。SFTSに対する抗ウイルス薬の医師主導型臨床研究を行った。病原ゲノムデータベース（ GenEpid-J ）ならびに多剤耐性結核菌ゲノムデータベース（GReAT）の拡充による、薬剤耐性予測機能の高精度化を行った。これらの感染症対策並びに診断薬、治療薬及びワクチン開発等を一体的に推進したことは高く評価できる。

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

令和元年度評価

・病原体ゲノムデータベース（GenEpid-J）、国際的な結核データベース（GReAT）の拡充、多剤耐性結核解析ツール（TGS-TB）の改良・公開を行った。病原体ゲノムデータベースでは、薬剤耐性菌ゲノム情報の円滑な情報解析のため、感染症法に規定される35菌種の公開ゲノム情報を収集し、gGENEPIDで一般ユーザーでも閲覧できるよう公開した。ベトナム、中国等においてカルバペネム耐性またはポリミキシン耐性の腸内細菌科細菌の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、国内外の分離株との比較解析を実施した。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、アジア地域の厚生省との連携強化によるJANISシステムの海外展開を推進した。これらの取組みは、感染症流行時の迅速対応に有効なツールとして利用価値が高く、評価できる。

期間実績評価

・ノロウイルスゲノム・耐性菌ゲノムの公開ゲノムデータベース（DDBJ）に登録を開始した。病原体ゲノムデータベース（GenEpid-J）、プラスミド・ネットワーク解析ツール（iPAT）、国際的な結核データベース（GReAT）の拡充、多剤耐性結核解析ツール（TGS-TB）の改良・公開を行った。病原体ゲノムデータベースを利用し、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、抗体依存性感染増強（ADE）機構の解析を加速させた。また、薬剤耐性菌ゲノム情報の円滑な情報解析のため、感染症法に規定される35菌種の公開ゲノム情報を収集し、gGENEPIDで一般ユーザーでも閲覧できるよう公開した。ベトナム、中国等においてカルバペネム耐性またはポリミキシン耐性の腸内細菌科細菌の臨床分離株を収集し、国内の分離株との比較解析を実施した。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、アジア地域の厚生省との連携強化によるJANISシステムの海外展開を推進した。これらの取組みは、感染症流行時の迅速対応に有効なツールとして利用価値が高く、評価できる。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑧疾患に対応した研究＜新興・再興感染症＞

評価軸 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。

令和元年度評価

・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、入院外来別、年齢群別、性別、病床規模別、検体種類別に、主な菌種について薬剤感受性試験の結果を集計し、結果を公開した。また、その集計を都道府県単位で行った結果を公開するとともに、国立国際医療センターAMR臨床リファレンスセンターの運用するワンヘルスプラットフォームに提供し、主要な菌と抗菌薬の組み合わせについて耐性率の全国分布を日本地図上に描画することを可能にした。さらに、通常のJANISの集計方法とWHOの集計方法とで結果を比較し、耐性率の集計値の相違は小さいことを明らかにした。これらの集積された情報を分析し、重点的なサーベイランスにより実施された感染症への迅速な対応の促進は高く評価出来る。

期間実績評価

・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）に準拠したプログラムを開発、外来検体の集計・公開を開始した。国内及びアジア諸国から多剤耐性結核菌の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、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進めた。デング熱制御について、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、抗体依存性感染増強（ADE）の分子機構の解析を加速させた。主要な菌と抗菌薬の組み合わせについて耐性率の全国分布を日本地図上に描画することを可能にした。これらの集積された情報を分析し、重点的なサーベイランスにより実施された感染症への迅速な対応の促進は高く評価出来る。

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

令和元年度評価

・J-GRIDではガーナ、タイ、インドネシア、ミャンマーおよびフィリピンの各拠点において、日本の医学部学生（26名）、医療センター臨床研修医（4名）に対して、熱帯医学臨床研修を実施した。9月北大にて「アジア・アフリカリサーチフォーラム」を開催し、若手研究者を含む海外9拠点や感染研から研究者が191名参加し研究成果の発表、意見交換を活発に行った。若手研究者8名、リサーチ・レジデント5名の登用支援および雇用を行った。国際レビューア導入に伴い、提案書の一部を英語化した。J-PRIDEでは、全課題による研究成果発表会を開催するなど成果の発信、研究者交流や議論促進の取組を行った。

期間実績評価

・新興再興事業・J-GRID・J-PRIDE合同シンポジウムをAMED主催で開催し、研究者間の連携を推進し、今後のプロジェクト推進・連携基盤の構築に努めた（参加者：約100名）。J-GRIDではガーナ、タイ、インドネシア、ミャンマーおよびフィリピンの各拠点において、継続的に日本の医学部学生等を熱帯医学研修に受け入れた。若手研究者7名、リサーチ・レジデント9名の登用支援および雇用を行った。国際レビューア導入に伴い、提案書の一部を英語化した。J-PRIDEでは、合宿型班会議や全課題進捗報告会、第2回日英ワークショップ、研究成果発表会を開催した。研究者間の交流や連携を図り、今後のプロジェクト推進基盤の構築に努めたことは評価できる。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AMEDと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。J-PRIDEの日英共同研究支援の取り組みを国際事業SICORPの共同公募につなげ、治療薬やワクチン開発も見据え、若手育成に資する研究課題の事業間橋渡しを行った。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑧疾患に対応した研究＜新興・再興感染症＞

評価軸

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

令和元年度評価

・ジカウイルスワクチンについて、First In Humanにて第I相企業治験を実施した。結核DNAワクチンについて、FIHにて多施設第I相医師主導治験を実施した。エボラウイルスワクチンについて、候補ワクチンの非臨床試験を完了し、FIHにて第Ⅰ相臨床試験を開始した。第1世代ノロウイルスワクチンシーズについては、企業導出後、海外における2020年度内の第I相臨床治験に向けて製造準備を進めている。次世代ノロウイルスワクチンシーズとして、経粘膜免疫が可能な分子ニードルワクチンと高度弱毒化生ワクチンプラットホームの開発に成功し、それぞれ特許出願を行った。インフルエンザウイルス全粒子不活化ワクチンについては、第Ⅰ/Ⅱ相臨床試験を完了し、第Ⅲ相試験を準備している。第一三共株式会社が収集した臨床分離株11万株の国立感染症研究所への無償譲渡を支援したことは高く評価できる。

期間実績評価

・デングウイルスVLPワクチンが野生型ウイルスに対して抗体応答を惹起することを確認した。重症熱性血小板減少症候群（SFTS）に対する抗ウイルス薬医師主導型臨床研究を行った。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。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。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ことは高く評価できる。

評価軸

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

令和元年度評価

・国際的な結核データベース（GReAT）の拡充、多剤耐性結核解析ツール（TGS-TB）の高精度化を行った。今後の結核低蔓延状況を踏まえて、医療提供体制に関する、結核病床のあり方と医療の質の確保に関する提言の策定、高齢者結核患者支援のための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。外国出生結核患者の対応のための医療通訳等の言語障壁への対応の課題の検討。接触者健診について、台帳システムの構築、感染源患者の周囲への排菌量を定量法の開発、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。多剤耐性結核菌に有効な新規抗結核薬候補物質を複数同定し、構造解析を実施し、特許を出願した。イソニアジド耐性菌検出法の基盤技術を確立した。結核DNAワクチンの第I相医師主導治験を開始した。これらの包括的な結核対策の推進は高く評価できる。

期間実績評価

・法務省との連携による刑事施設を対象とした結核対策の研修会を実施し、普及啓発、人材育成に寄与する成果を得た。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。国際的な結核データベース（GReAT）を拡充（5,000株）し、データ公開（約1,300株）を行った。多剤耐性結核解析ツール（TGS-TB）の薬剤耐性予測機能の高精度化を行った。わが国が結核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。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、そのうち最適化合物については構造解析を実施し、特許を出願した。イソニアジド耐性菌検出法の基盤技術を確立した。結核DNAワクチンの第I相医師主導治験を実施中。これらの包括的な結核対策の推進は高く評価できる。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑧疾患に対応した研究＜新興・再興感染症＞

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

令和元年度評価

・麻しんや風しんのサーベイランス体制の構築と維持を行った。麻しんについて排除認定の維持に繋がる取組みを行ったこと、また、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こと、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。北京にてJ-GRID4拠点（東大・北大・阪大・長崎大）による研究成果の進捗報告・意見交換会によるサーベイランスの相互連携を行った。HIV-1Bのインドネシアにおける伝播様式を明らかにした。ベトナム、ハノイ市にまん延する結核菌の特徴を明らかにしたことは高く評価できる。

期間実績評価

・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い、麻しんについて排除認定の維持に繋がる取組みを実施した。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、更に、海外の大学・研究機関とも連携を行った。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。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、各海外拠点へのPS、PO、AMED職員によるサイトビジットを実施し、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を行った。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。これらの取り組みは高く評価できる。

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

令和元年度評価

・高度安全実験施設を中核とした感染症研究拠点形成支援を通して、危険性の高い病原体等の治療法、ワクチン等の研究開発に向けて感染症研究のレベルアップを図り、BSL4施設稼働後を見据えた準備研究としての成果創出も目標に対して着実に進捗したこと、感染症分野の若手人材育成を促進したことは高く評価できる。

期間実績評価

・高度安全実験施設を中核とした感染症研究拠点形成支援を通して、危険性の高い病原体等の治療法、ワクチン等の研究開発に向けて感染症研究のレベルアップを図り、BSL4施設稼働後を見据えた準備研究としての成果創出も目標に対して着実に進捗したこと、感染症分野の若手人材育成を促進したことは高く評価できる。

(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑨疾患に対応した研究<難病>

令和元年度評価

評定（自己評価）	
A	希少・未診断疾患や難病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。本年度は①-1 デュシェンヌ型筋ジストロフィーに対し、NS-065/NCNP-01（核酸医薬）が承認を了承されている。また、①-2 Step2（医師主導治験）課題では2課題が本年度内に医師主導治験のデータ解析を達成し、この結果により承認申請に向けて大きく進展することになる。①-3 更に、iPS細胞モデルにて見出された治験薬による「進行性骨化性線維異形成症」の治験では24週時点での評価で安全性に問題なく長期投与に移行しており、iPS細胞創薬という革新的な医療開発を推し進めている。②-1 未診断疾患イニシアチブ（IRUD）では診断ネットワークは490施設へ拡充するなど取り組みを更に活性化させており、解析実績は4658家系（令和元年9月時点）を達成している。これによる新規疾患関連遺伝子の発見は29件（累計）と計画を大幅に上回り、②-2 IRUD beyondとしてもモデル生物コーディネーティングセンターにより103の未知遺伝子の機能解析が進行（2019年12月）する等、特筆すべき成果をあげている。加えて難病プラットフォームでは研究班へのレジストリ構築支援が多数行われ、企業連携へのマッチングも開始されている。また、課題管理に関しても半年毎の進捗状況調査によるタイムリーな研究支援や、②-4 評価委員や科学技術調査員の拡充・利活用による質の高いステージゲート評価等を実施している。③-1 加えてMatchmaker Exchangeを通じた海外とのデータ共有、③-2 国際レビューアを活用した公募、③-3 HAM患者に対する国際共同治験も順調に進捗しており、国際連携への取組みも進んでいる。③-4 評価の高かった若手研究者への教育研修も規模と内容を拡充して開催した。希少難病領域では、ゲノム等の基礎研究から核酸医薬、遺伝子治療等への疾患研究を事業として連携させることで、AMEDとしての触媒機能を果たしてきた。以上より、「研究開発成果の最大化」に向けて:顕著な成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められる。

①希少難治性疾患に関する顕著な成果の創出

PSPOによるサイトビジットを含む積極的な課題管理等を通じて下記のような成果の最大化を達成した。

①-1デュシェンヌ型筋ジストロフィーにNS-065/NCNP-01（核酸医薬品）が薬事・食品衛生審議会医薬品第一部会で承認了承（令和2年2月28日）

①-2 家族性地中海熱（川上班）及びALS（梶班）に関する治験が被験者登録及び最終評価を完了し、いずれも本年度内にデータ解析を実施予定

①-3 iPS 細胞モデルによる創薬である「進行性骨化性線維異形成症」の治験が進捗中であり、24週時点で安全性、逸脱等の懸念はなく順調に継続中

②成果創出を支える環境整備や事業運用改善

②-1 28のCIRB実施許可施設を含めて全国を網羅する診断ネットワークは490施設となり、通常診療で診断が困難な患者の解析実績は累計で4,658家系となる（2019 年9 月末）

②-2 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により103の未解明遺伝子の機能解析が進行中

②-3 難病プラットフォームにて40以上の研究班にレジストリ構築支援を実施し、企業連携を希望する研究班にはマッチング支援を開始

②-4 ステージ-ゲート毎に必要な専門家を疾患やフェーズ等の専門領域にて評価委員、科学技術調査員として拡充し、最適な査読割りを実施するシステムを用いて質の高いステージゲート評価等を実施

③国際連携、研究者育成等に資する活動

③-1 国際的な情報共有システム（ Matchmaker Exchange）を通じて表現型・候補遺伝子名を共有等、国際協力等を推進し、2疾患の確定診断（論文準備中）を達成するとともに、IRDiRCの加盟機関総会に参加のうえIRDiRC Goal2027の取組みに協力

③-2 一次公募にて若手研究者枠を設定し国際レビューアを活用した公募を実施

③-3 HAM患者を対象とした国際共同治験は進捗、成績（盲検下レビュー）とも順調で早期終了に向けPMDA相談を予定（令和2年3月13日実施）

③-4 若手研究者を対象とし、企業で取り組むビックデータ創薬、アカデミアの基礎研究から承認取得の実例等、研究者に必要な知識に対する教育講演を実施

④ 成果目標達成状況（評価指標）/令和二年3月時点の達成状況

④-1	新規薬剤の薬事承認や既存薬剤の適応拡大（目標 令和元年度までに 11件以上）	7件
④-2	欧米等のデータベースと連携した国際共同臨床研究及び治験の開始	1件
④-3	未診断又は希少疾患に対する新規原因遺伝子又は新規疾患の発見（目標　令和元年度までに 5件以上）	29件

(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑨疾患に対応した研究<難病>

期間実績評価

	H27	H28	H29	H30	R1	見込	期間
自己評価	S	S	A	A	A	S	S
主務大臣評価	S	S	A	A		A	

評定（自己評価）

S

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。①**令和元年度中に7件の薬事承認を達成**し（1件は薬事・食品衛生審議会医薬品第一部会での了承取得）している。更に本年度中に2件の医師主導治験が解析予定である。また、**医師主導治験が23件で今後も新規治療法の実用化について着実な進捗が期待**される。また、iPS細胞モデルにて見出された治験薬による開発は「進行性骨化性線維異形成症筋」、「萎縮性側索硬化症（ALS）」の治験が順調に進捗している。②未診断疾患イニシアチブ（IRUD）においてCIRBの活用や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490施設による大規模ゲノム観察研究を円滑に遂行した。また、解析実績は累計4,658家系となり（2019年9月）、半年以内に解析結果を返却**する取り組みを実施した。また、**難病プラットフォームでは40を超えるレジストリー構築支援が実施され、新たに企業連携のマッチングを開始**する等、データシェアリングの環境整備は更に加速している。課題管理に関しては研究内容と評価委員の専門性を合致させる査読割付システムを開発・導入し、ステージゲート評価に必要な専門性を有する評価員等も拡充した。また、効果的かつ効率的な課題管理が可能になる「Risk & Impact based approach to management」を導入した。更に保有する開発パイプラインの最適化をPSPO会議で分析、協議し、その結果に基づき公募を設計している。③IRDiRCの第6回加盟機関総会を東京で開催し新 10か年目標の策定に貢献した。この一環として、症例の国際的な情報共有（Matchmaker Exchange）のConnected Nodesに正式にIRUDが登録され日本国内での検討のみでは確定診断に至らなかった事例についても国際連携を推進した。また、IRUD Beyond（Beyond diagnosis/Beyond genotyping/Beyond borders）を設定し、遺伝子編集技術を用いた医療開発や、**モデル生物を用いた診断成功率の向上**、海外への情報発信を含む国際連携を進めている。加えてHAMに対する国際共同治験でKPIを達成済みだが、更に「Global Eye Genetics Consortium」の設立も達成し、症例・ゲノム情報登録による国際共同臨床研究も予定されている。**未診断又は希少疾患に対する新規原因遺伝子等の発見はKPI 5件に対して既に29件**と著しい成果を出しており、今後も新たな発見が続く予定である。以上より、「研究開発成果の最大化」に向けて特に顕著な成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められる。

①希少難治性疾患に関する顕著な成果の創出
PSPOによるサイトビジットを含む積極的な課題管理や企業連携の啓発等を通じて下記のような成果の最大化を達成
①-1 下記7件の薬事承認取得（薬事・食品衛生審議会医薬品第一分科会での承認の了承含む）
ラパマイシン（LAM）、HAL医療用下肢タイプ （SMA、ALS等）、サンコンKyoto-CS（SJS、TEN）、チタンブリッジ（痙攣性発声障害）、タウリン散98%「大正」（MELAS）、ナノピア®LRG（体外診断薬）、NS-065/NCNP-01 [viltolarsen]（デュシェンヌ型筋ジストロフィー）
①-2 開発後期として豊富なパイプラインを構築
薬事承認を目指すシーズ探索 73件、医師主導治験準備 9件、医師主導治験 23件[申請準備中案件は4件以上]
①-3 iPS 細胞モデルを駆使したiPS細胞創薬
革新的な手法にて候補化合物見いだし、進行性骨化性線維異形成症及び萎縮性側索硬化症（ALS）への治験が進行中

(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑨疾患に対応した研究<難病>

期間実績評価

①希少難治性疾患に関する顕著な成果の創出

①-4 ゲノム編集を用いた革新的な遺伝子治療による視覚再建
遺伝子変異の「正常化」を可能にするゲノム編集を用いた遺伝子治療の単一ウイルス化に成功し、治療の対象にならなかった網膜色素変性を含む他の遺伝病性疾患に対する遺伝子治療の開発への道を開いた。

①-5 遺伝子にできたDNAの傷を効率よく修復する仕組みを解明
DNA修復の開始には2型RNA合成酵素を構成するRPB1蛋白質の1268番目のリジン残基のユビキチン化修飾が必須であることを明らかにし、転写に関する基礎研究のほか、老化に関連する様々なヒト疾患の病態解明や治療薬の開発への貢献が期待される。

①-6 腎移植によるHAM発症の危険性を報告
腎移植におけるHTLV-1感染症の危険性に関し調査し、HTLV-1感染ドナーからの委嘱は高頻度にHTLV-1感染するだけでなく、移植数年度にHAMを発症する危険性があることを明らかにした。

②成果創出を支える環境整備や事業運用改善

②-1 IRUDにおけるCIRBの活用と診断ネットワークの構築
35の大学病院に診療科横断的診断委員会を設置する等、大学病院、地域中核病院を含む全国490施設の診断ネットワークを構築。

②-2 IRUD Exchangeを用いた情報共有(2019年12月時点)
IRUD登録患者情報(標準化臨床情報(HPO)、遺伝学的情報)を登録し、情報共有を通じて4,400以上の解析を実施するなど国内における代表的な登録先としての地位を確立。

②-3 IRUDによる解析実績(2015年7月～2019年9月)
診断確定数 1,584家系、遺伝学的解析による診断率43.8%、IRUD解析センターにおける解析実績 4,658家系という著しい成果を達成。

②-4 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
IRUD Beyondとして臨床研究者とモデル生物の研究者を連携させることで、103の未知遺伝子の機能解析が進行中。

②-5 難病プラットフォームによるデータシェアリングの推進
40以上の研究班に対しレジストリー構築支援を達成し、新たに企業連携のマッチング支援も開始。

②成果創出を支える環境整備や事業運用改善

②-6 先進的な課題評価及び課題管理方法の採用
リスク分析に基づく課題管理や、研究内容と評価委員の専門性を合致させるマッチングシステムの実装や分科会の設置等により質の高い課題評価ができる体制を構築した。

③国際連携、研究者育成等に資する活動

③-1 国際コンソーシアムであるIRDiRCへの参加・協力
IRDiRC Goal2027への貢献は勿論、Matchmaker Exchangeにて国内での検討では確定診断に至らなかった事例の登録等、未診断疾患に関する国際連携を進めた。
また、海外のDB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。

③-2 IRUDの成果を更に発展させるための方策の実施
IRUD Beyond(Beyond diagnosis/Beyond genotyping/Beyond borders)を設定し、治療開発や国際連携等について加速させ、NAN・BYO RESEARCHを構築のうえ日本と各国との共同開発の加速を含め国内の研究成果の国際展開を念頭に、Springer Nature社と提携し難治性疾患実用化研究事業及びIRUDの研究成果を世界に発信した。

③-3 遺伝子治療、細胞治療をテーマにした国際シンポジウムの開催
「AMED Gene & Cell Therapy Symposium 」として、米国、シンガポールから KOLを招聘し、遺伝子治療 (in vivo遺伝子治療)と細胞治療に関する公開シンポジウムを開催し、本領域におけるサイエンスと医療実装に関する議論を実施した。(国際事業部と連携)

③-4 評価の国際化による高質化
一次公募にて若手研究者枠を設定し国際レビューアを活用した公募を実施した。

③-5 国際共同研究(MRCT)の推進
HAMに関するMRCTの継続や、Global Eye Genetics Consortiumの構築によりMRCTの基盤を設立した。

③-6 若手研究者育成のための教育企画
若手研究者(班員含む)に対する教育講演を含むPSPO進捗ヒアリングを実施した。

④ 成果目標達成状況 (評価指標)/令和二年3月時点の達成状況

④-1	新規薬剤の薬事承認や既存薬剤の適応拡大 (目標 令和元年度までに 11件以上)	7件
④-2	欧米等のデータベースと連携した国際共同臨床研究及び治験の開始	1件
④-3	未診断又は希少疾患に対する新規原因遺伝子又は新規疾患の発見(目標　令和元年度までに 5件以上)	29件

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑨疾患に対応した研究<難病>

令和元年度評価　期間実績評価

①−1 薬事承認の取得

緩徐進行性の神経・筋疾患患者



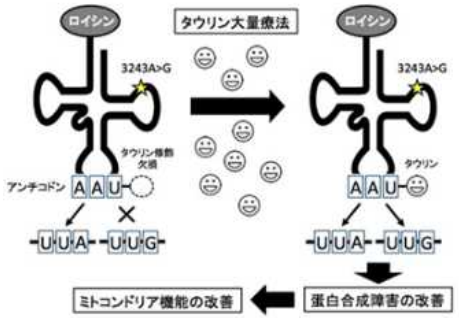
HAL医療用下肢タイプ

リンパ脈管筋腫症



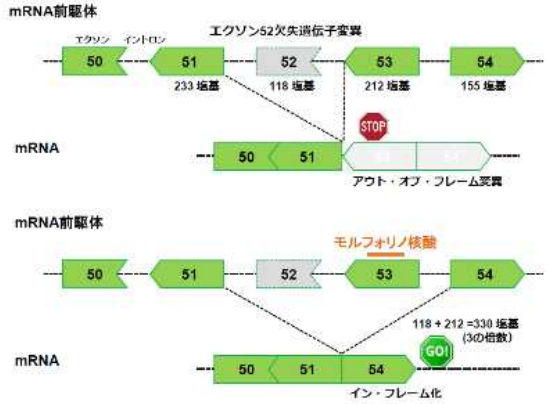
ラパマイシン

MELAS



タウリン散98%「大正」

デュシェンヌ型筋ジストロフィー　（令和元年度実績※）



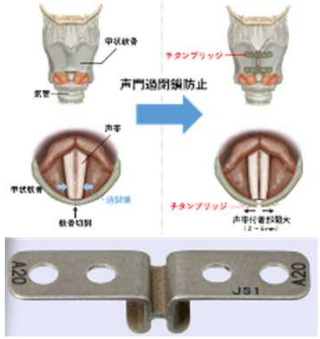
NS−065/NCNP−01（viltolarsen）
※ 医薬品第一部会で承認を了承（ 令和二年2月28日）

SJS及びTENの眼後遺症



サンコンKyoto-CS

内転型痙攣性発声障害



チタンブリッジ

炎症性腸疾患



ナノピア®LRG
（体外診断薬）

①−2 豊富な開発パイプラン、開発支援基盤の構築
（令和元年度実績）

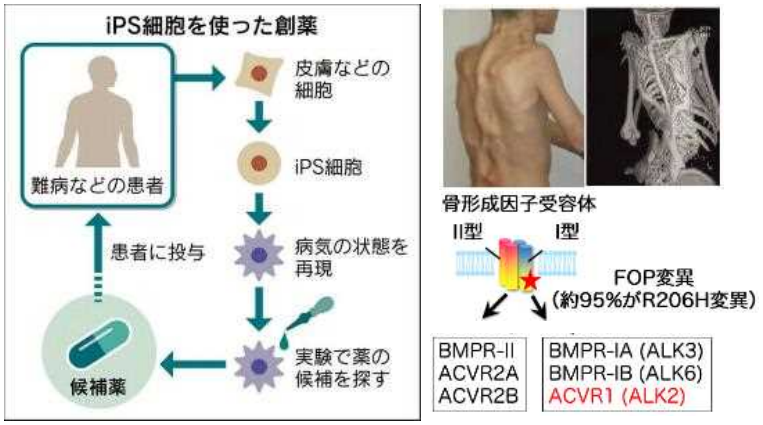
課題枠	課題数
病態解明研究	35
薬事承認を目指すシーズ探索研究（ステップ0）	73
治験準備（ステップ1）	9
治験実施（ステップ2）	23
診療に直結するエビデンス創出研究	52
オミックス解析拠点	9
未診断疾患に対する診断プログラムの開発に関する研究 (IRUD: Initiative on Rare and Undiagnosed Diseases)	1
IRUD Beyond (beyond genotyping, beyond borders)	2
情報集約基盤構築研究（難病プラットフォーム）	1

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑨疾患に対応した研究<難病>

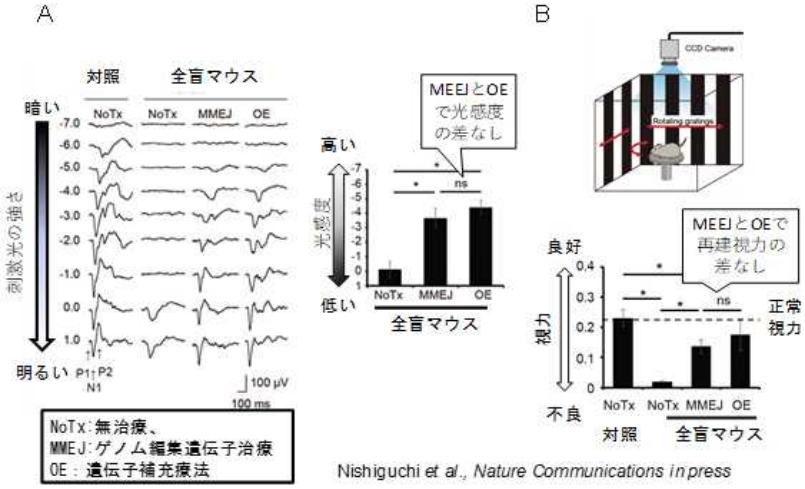
令和元年度評価　期間実績評価

①-3 iPS 細胞モデルを駆使したiPS細胞創薬（令和元年度実績）

進行性骨化性線維異形成症

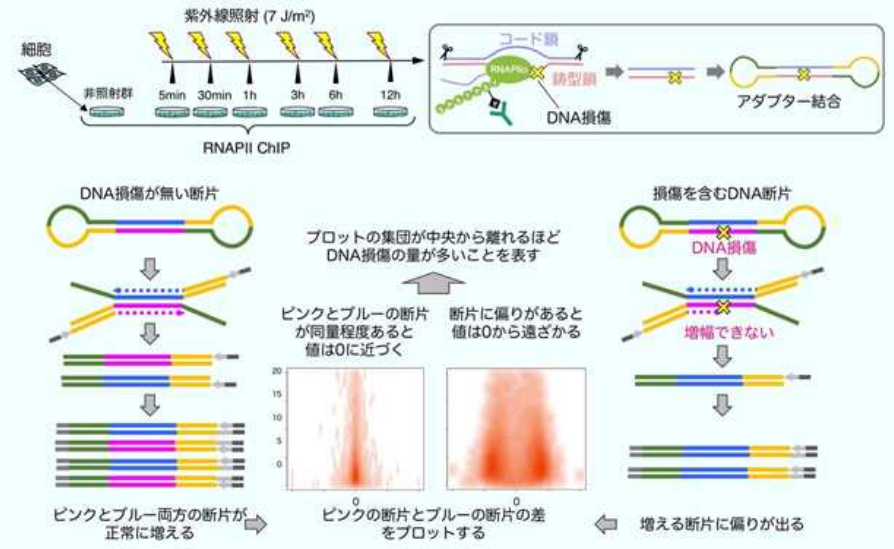


①-4 ゲノム編集を用いた革新的な遺伝子治療による視覚再建（令和元年度実績）

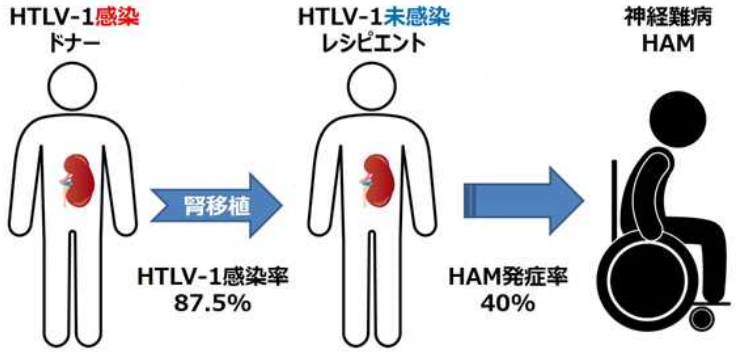


Nishiguchi et al., Nature Communications in press

①-5 遺伝子にできたDNAの傷を効率よく修復する仕組みを解明（令和元年度実績）



①-6　腎移植によるHAM発症の危険性を報告

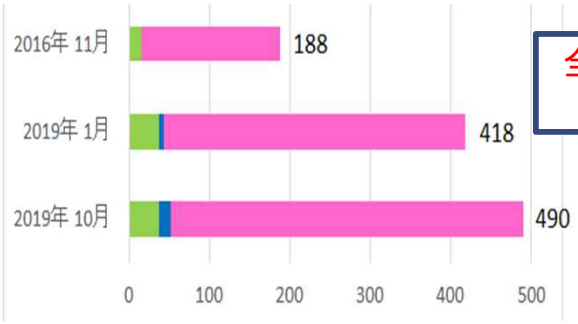


Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑨疾患に対応した研究<難病>

令和元年度評価　期間実績評価

②-1 IRUDにおける全国を網羅する診断NW（令和元年度実績）

- IRUD 拠点病院： 総合的な診断可能な AMED採択施設
- IRUD 高度協力病院： 患者さんのアクセスを考慮し指定された拠点病院に準じた施設
- IRUD 協力病院： 患者さんのアクセスを考慮し指定され、患者さんの拠点病院への紹介を行う施設

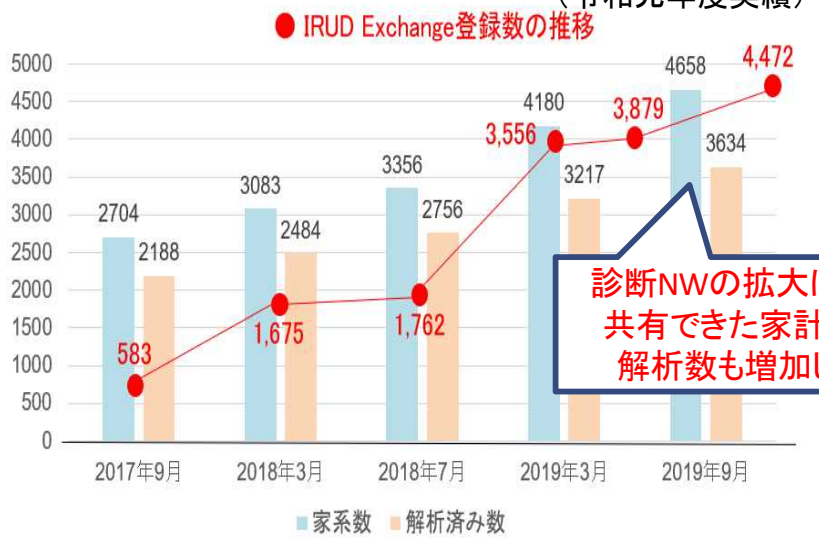


全国を網羅する490施設の診断NWを構築した



②-2 IRUD Exchangeを用いた情報共有

（令和元年度実績）



診断NWの拡大により共有できた家計数、解析数も増加した

②-3 IRUDによる解析実績

新規疾患の発見 29疾患
（うち13疾患はOrphanet登録済）

診断確定数（注1） 1,593家系

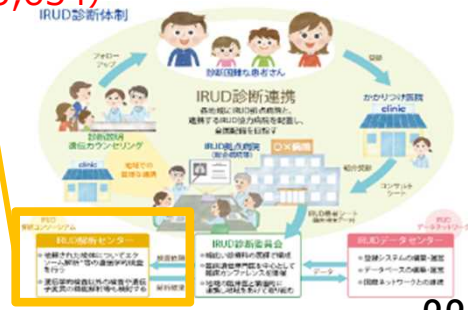
	遺伝性指定難病（全196疾患・823原因遺伝子（ミトコンドリア病は除く））		Orphanet（注2） 収載希少疾患（全6,172疾患・5,454原因遺伝子）（2019年10月時点）	いずれにも該当しない疾患
2019年9月	225	722	646	0
2019年3月	▲111	▲630	▲543	▲0
2018年7月	▲49	▲330	▲425	▲212

データシェアリングにより疾患の分類が拡充することで、青枠の遺伝性指定難病又は赤枠のOrphenet収載の何れかにて診断がつく疾患が増加した（2019年3月以降「いずれにも該当しない疾患」は0であった）

診断確定（注1） 1,593

IRUD解析センターによる解析受入れ実績
4,658家系

遺伝学的解析による診断率（診断数/解析実施数）
43.8%（1,593/3,634）

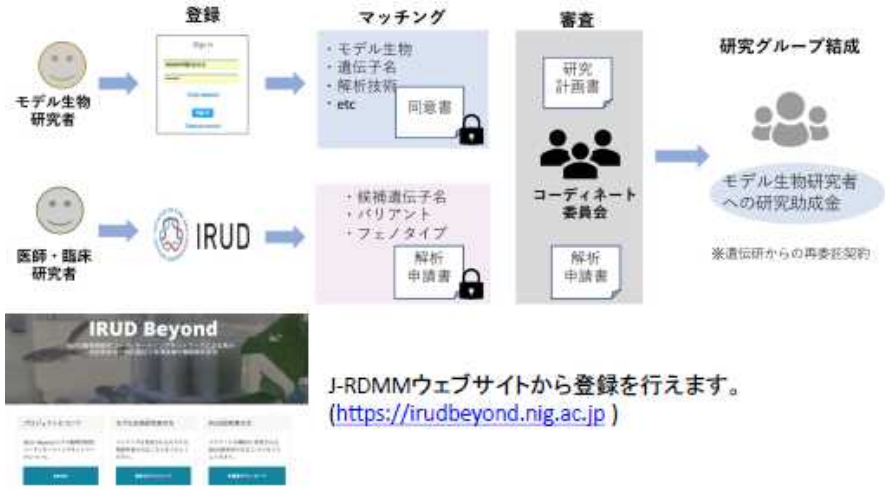


（注1）IRUD解析センターにおける遺伝学的解析により、診断確定に必要な解析結果を提供した数。
（注2）Orphanet：希少疾患とオーファンドラッグに関する情報を提供するリファレンスポータル。約40カ国が加盟するコンソーシアムにより運営され、フランスのINSERM（フランス国立保健医学研究所）チームが統括。https://www.orpha.net

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑨疾患に対応した研究〈難病〉

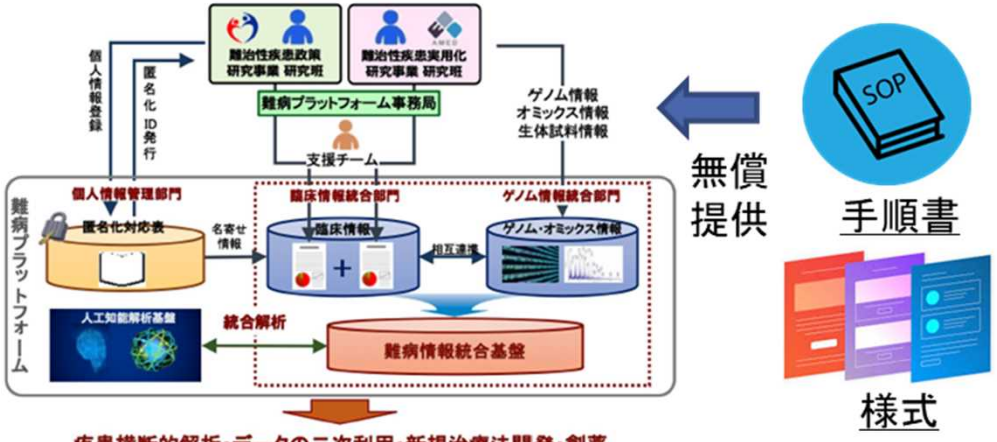
令和元年度評価　期間実績評価

②-4 モデル生物コーディネーティングネットワーク （令和元年度実績）



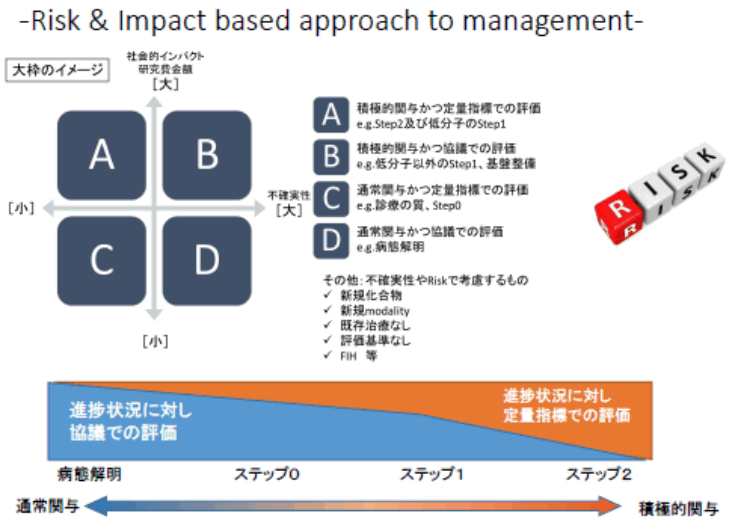
J-RDMMウェブサイトから登録を行えます。
(https://irudbeyond.nig.ac.jp)

②-5 難病プラットフォームによるレジストリー構築支援
［データシェアリングの推進］（令和元年度実績）



無償提供

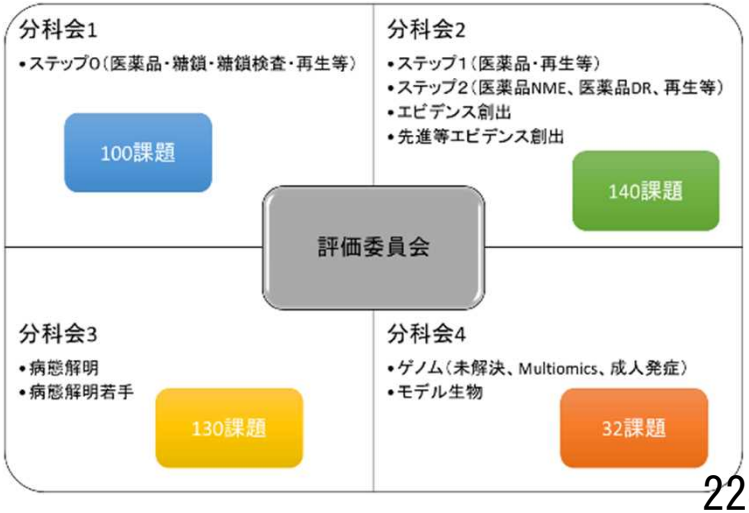
②-6　高質な課題管理ための業務運用改善（令和元年度実績）



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

分科会設置による専門性を生かした評価　（令和元年度実績）

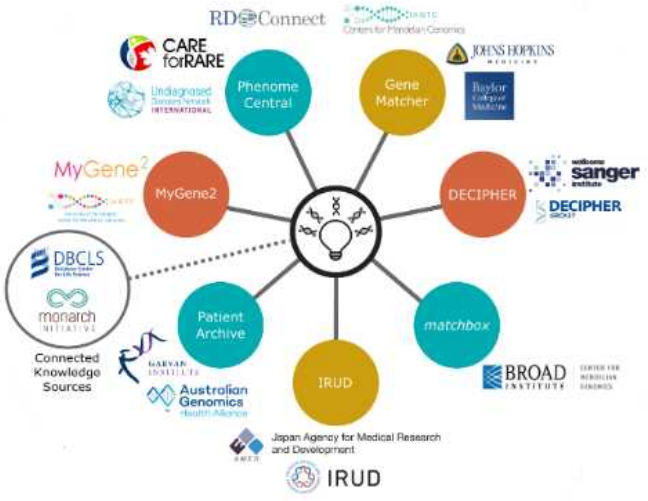
公募毎に専門性を有する評価員や科学技術調査員を拡充し、専門性毎に分科会を設置の上、システムにより評価領域の最適化を実施した



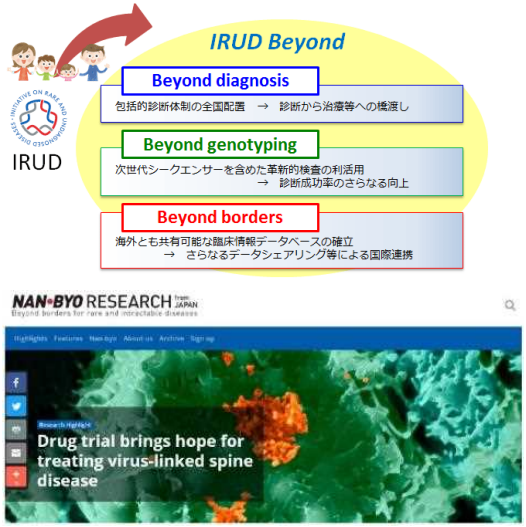
Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑨疾患に対応した研究<難病>

令和元年度評価　期間実績評価

③-1 Matchmaker Exchangeを通じた表現型・候補遺伝子名の共有



③-2 IRUDの成果を更に発展させるための方策の実施



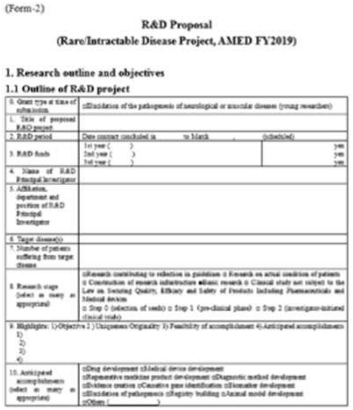
③-3 IRUDの成果を更に発展させるための方策の実施



③-4 国際レビューアを活用した公募

（令和元年度実績）

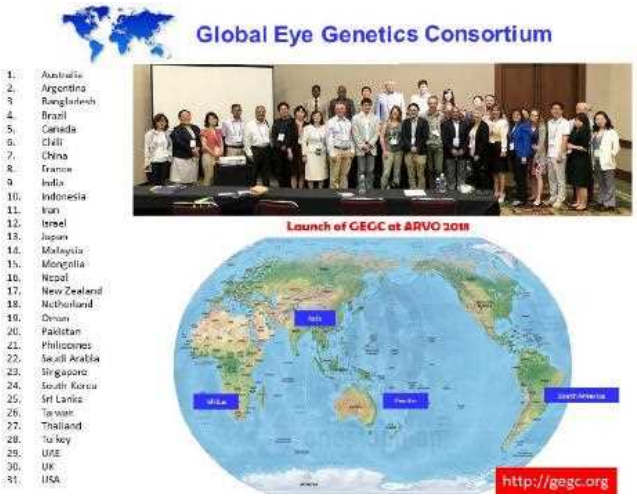



(Form-2)

R&D Proposal
(Rare/Intractable Disease Project, AMED FY2019)

1. Research outline and objectives
1.1 Outline of R&D project

③-5 国際共同研究の推進



③-6 若手研究者を対象とした教育講演

（令和元年度実績）



Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑨疾患に対応した研究〈難病〉

令和元年度評価 | 期間実績評価

＜成果目標達成状況＞ ※Ⅰ(2)①～⑨のみ

KPI【令和元年までの達成目標】	① 令和二年3月迄の累積達成状況	② ①のうち、令和元年度の達成状況
新規薬剤の薬事承認や既存薬剤の適応拡大を11件以上達成	累計 7件	医薬品1件
欧米等のデータベースと連携した国際共同臨床研究及び治験の開始	HAM患者を対象とした国際共同治験において急速進行群は目標例数8例を完了し、緩徐進行群は40例中28例を登録し、早期終了(解析)についてPMDAと相談中。＊令和二年3月時点	新規投与開始4例 ※盲検下レビューにて推定に用いた標準偏差より十分小さい値であることから、緩徐進行群についても集積した28例で解析可能として早期終了をPMDAと協議中
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	累計29件(論文発表等での公開)	14件 ・痙性対麻痺、知的障害、脳形成異常を持つ新規奇形候群:MAPK8IP3 ・大頭症＋胸郭変形＋知的障害:AFF3遺伝子 ・West症候群:FGF12重複遺伝子 ・Noonan症候群:RRAS2遺伝子 ・乳幼児てんかん＋知的障害:NSF遺伝子 ・特異顔貌＋知的障害:CNOT2遺伝子 ・intellectual disability,epilepsy and autism:SETD18遺伝子 ・短縮型SMC1A変異関連難治性てんかん:SMAC1遺伝子短縮型変異 ・Noonan症候群:MRAS遺伝子変異 ・Cole-Carpenter症候群:SEC24D遺伝子 ・Severe apnea and sick sinus 症候群:MECP2遺伝子 ・early childhood-onset type 1B diabetes:KLF11遺伝子 ・global developmental delay with seizures:CSNK2A1/CSNK2B遺伝子 ・OFD syndrome:IFT172遺伝子

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑨疾患に対応した研究〈難病〉

評価軸	希少・難治性疾患（難病）の克服を目指すため、治療法の開発に結びつくような新しい疾患の病因や病態解明を行う研究、医薬品、医療機器等の実用化を視野に入れた画期的な診断法や治療法及び予防法の開発を目指す研究を推進とともに、未診断疾患に対する全国規模の診断体制を構築するための研究を推進したか。

令和元年度評価

- 前ページ等のSL-1、①－１等を参照のこと

期間実績評価

- KPIである新規薬剤の薬事承認や既存薬剤の適応拡大については7件を達成（1件は薬事・食品衛生審議会医薬品第一分科会での承認の了承）している。更に現時点で23件の医師主導治験、9件の医師主導治験準備、73件の薬事承認を目指すシーズ探索研究といった豊富なパイプラインを構築した。治験を終了し今後は企業による承認申請を待っているものも4件以上あり、承認取得済みの課題についても欧米への承認申請等、更なる発展が期待できる。
- 欧米等のデータベースと連携した国際共同臨床研究及び治験の開始については既にHAMの国際共同治験（山野班）によりKPIを達成済みである。その他、遺伝性網脈絡膜疾患（岩田班）においては「Global Eye Genetics Consortium」を設立し、症例・ゲノム情報登録による国際共同臨床研究が準備中である。
- 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についてはKPI 5件を大幅に超える29件を登録済みである。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑩健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発事業

令和元年度評価

評定（自己評価）	
A	①**複数学会主導の臨床画像データベースを構築**：臨床画像の関連6学会が主導する画像データベースの連携データ集積システムを構築。その際、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うことで、世界で類を見ない学会連携のDB基盤の仕様が定まった。これにより、AIによる診断・治療支援のための基盤構築が加速された。②**革新的先端研究開発支援事業（AMED-CREST、PRIME、LEAP）**においては、PSPOを中心としたマネジメントを行い、革新的な医療につながることが期待されるシーズを創出した。AMED-CREST新領域において海外レビューアを導入し、101件の提案を39名のAMEDレビューアが査読した。また成果展開促進のため、ヒト検体を用いた疾患絞込み等を行うFORCE事業を開始した。LEAPの成果最大化を図るため、臨床・応用研究者とのマッチングシステムを導入して選考を実施し1件を採択した。③**疾病に対応した研究**では、生活習慣病、腎疾患、免疫アレルギー疾患、エイズ対策及び肝炎対策などの各分野において研究成果を挙げ、④**産学連携医療イノベーション創出推進プログラム（ACT-M）**において薬事承認の取得等、着実に実用化に向けた成果をあげるなど、所期の目標を大きく上まわった。 以上より、「研究開発成果の最大化」に向けて顕著な成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められる。

①複数学会主導の臨床画像データベース構築及びAI実装に関する研究

- 国立情報学研究所が主体となり画像関連6学会をとりまとめ、かつ学会主導データベース（DB）構築の研究を推進したことで、我が国の医療の質の向上・均てん化・診療支援に資する公益性が高く、悉皆性のある臨床画像データ等のDBの構築及び8,000万枚の構造化された画像情報を蓄積し、学会ごとのAIの開発を推進させた。
- 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。
- 6学会の学術集会、日本医学会や医療情報学会にてAMED理事長や当事業PS/POが研究内容を紹介するとともに、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、各学会内部への周知にも取組。
- 日本病理学会が構築した福島県遠隔病理診断ネットワークを活用したAI診断システムの検証実験を実施した。
- 日本消化器内視鏡学会と国立情報学研究所の共同で内視鏡検査時の見落としを軽減するシステムの開発を行った。

②革新的先端研究開発支援事業（AMED-CREST、PRIME、LEAP）

②－１　画期的シーズの創出・育成をより一層進めるため、LEAP事業において申請者とAMED他事業の臨床・応用研究者との共同提案を促すマッチングシステムを導入し、採択を実施。

②－２　主としてマウスを対象とした実験から得られた優れた基礎研究成果を他の疾患別事業等へ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等を行うための新たな取組（FORCE）による研究開発を開始。

②－３　AMED-CRESTの令和元年度公募において、3領域中2領域に国際レビューアを導入し選考・採択を実施。令和2年度公募は全3領域への導入を実施。

②－４　革新的先端研究開発支援事業からは、Cell等に掲載されるインパクトの高い基礎研究成果を継続的に創出。

③疾病に対応した研究（生活習慣病等）

■　脳卒中を含む循環器系疾患、糖尿病、腎疾患、呼吸器系疾患などの生活習慣病、免疫アレルギー疾患、筋・骨・関節疾患、感覚器系疾患、泌尿器系疾患等の多岐にわたる疾患等に係る研究

- 循環器疾患･糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業では、心筋DNA損傷の程度を定量評価することで、心不全患者の予後や治療応答性を高精度で予測する手法を開発した。糖尿病性腎症のバイオマーカーとなるマイクロRNAや糖尿病性腎症による尿細管障害のバイオマーカーとなるDNAメチル化異常を同定した。
- 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するなど事業運用の改善を行い、C-メガリンが小児有熱性尿路感染症患者における腎瘢痕の診断マーカーとして有用である可能性を見いだした。
- 免疫アレルギー疾患実用化研究事業では、カビによる肺の組織線維化に至るメカニズムを解明し、新たな治療標的候補を同定した。アスピリン喘息に対する無作為化二重盲検プラセボ対照クロスオーバー試験により、ドラッグリポジショニングにつながる知見を得た。
- 移植医療技術開発研究事業においては、便微生物移植を用いた消化管GVHDに対する画期的な治療法に関する技術開発や、臓器移植における抗体関連拒絶反応に関連するB細胞の抑制につながる薬剤開発に向けての臨床研究を推進した。
- 慢性の痛み解明研究事業においては、脳関門を通過する新たな核酸医薬の開発、心理社会的要因の影響の分析等、慢性の痛みの病態解明や治療法の開発等に向けた取り組みを推進した。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑩健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発事業

③疾病に対応した研究（生活習慣病等）

■　エイズ及び肝炎対策に資する研究

- 【エイズ事業】効率的な課題の進捗管理を行うため、成果報告会等を開催し、最新の成果を把握した。HIVが宿主の防御システムから逃れるメカニズムの解明や、HIVの根治療法の解析と評価のための新規HIV感染霊長類モデルを新たに作成するなどの成果が得られた。また、現行のHIV薬による日本人に対する腎傷害、骨密度への影響を研究した。
- 【肝炎事業】効率的な課題の進捗管理を行うため、成果報告会等を開催し、最新の成果を把握した。C型慢性肝炎の治療効果に影響する宿主及びウイルス要因の同定や、B型肝炎ウイルスの生活環経路の制御メカニズムの解明、創薬シーズの同定などの成果が得られた。また、A型及びE型肝炎の大規模かつ網羅的な臨床データの収集と分析を行い、感染実態・動向を明らかにした。公募に若手枠を設け、国際レビューアによる査読を実施した。
- 【共通】知的財産部や創薬戦略部、産学連携部などと連携し、研究代表者からの知財相談や企業への導出に係る相談を積極的に受け、特許出願、企業とのマッチングなどのアドバイスを行った。

■感覚器障害をもつ人やその家族の生活支援、社会参加、就労移行支援などを促進するための研究

- 日本に約170万人と推定される視覚障害の人口のうち9割以上はロービジョンで、主に文字の読み困難を生じる。これまで適した補助具の選定が複雑であったが、これを解消する、新たな読書評価基礎技術を開発し、iPad等に導入するアプリの開発に着手している。

■　終末期における高齢者への適時適切な医療や介護の提供に係る研究

- 長寿科学研究開発事業では、医療や介護の現場から集計されたビッグデータを用いて、高齢者がどのように終末期を迎えて病死及び自然死に至るのかという経時的な変化を類型化する課題を開始した。

■　老化メカニズムの解明・制御プロジェクト

- 研究推進・支援拠点では、解析支援64件を実施し、研究開発拠点の研究を支援促進するとともに、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。さらに、研究推進会議や国内の老化関連研究機関との意見交換会議等を開催し、今後の事業の発展や老化研究の発展に向けた取組を行った。
- 研究成果として、幹細胞競合による恒常性維持機構の疲弊による皮膚の老化メカニズムの解明（個体・臓器老化研究拠点・東京医科歯科大学）や老化臨界期を決める体内機構の解明（老化機構・制御研究拠点・東京大学）等の研究成果が著名な論文雑誌に掲載されるなど、健康寿命延伸に向けた応用展開へ期待される成果が得られている。

④■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）

- ACT-M の平成27年度採択課題「プロジェクションマッピングによる近赤外画像の可視化とリアルタイムナビゲーションによる手術システムの開発」の研究成果に基づき、三鷹光器株式会社、京都大学、パナソニック株式会社がプロジェクションマッピングの技術を応用した手術支援システムを開発し、2019年11月20日にクラスⅡ医療機器の製造販売承認を取得した。
- ステラファーマ株式会社は、A-STEPの開発課題「ホウ素中性子捕捉療法に用いるホウ素薬剤」の成果に基づいた、ホウ素中性子捕捉療法（以下BNCT）用ホウ素薬剤を開発し、2020年3月25日に「切除不能な局所進行又は局所再発の頭頸部癌」を効能・効果として製造販売承認を取得した。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑩健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発事業

期間実績評価

評定（自己評価）
A

①AIによる診断等の支援も視野に、世界に類を見ない**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学会とともに国立情報学研究所が構築・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。②**革新的先端研究開発支援事業**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。③成育疾患克服等総合研究事業（**BIRTHDAY**）、女性の健康の包括的支援実用化研究事業（**Wise**）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った。④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、⑤**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のミッションに貢献した。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。

	H27	H28	H29	H30	R1	見込	期間
自己評価	A	A	A	A	A	A	A
主務大臣評価	A	A	A	A		A	

①複数学会主導の臨床画像DB構築及びAI実装に関する研究

- 日本消化器内視鏡学会、日本病理学会、日本医学放射線学会、日本眼科学会、日本皮膚科学会及び日本超音波医学会をとりまとめ、学会主導データベース（DB）構築の研究を推進したことで、我が国の医療の質の向上・均てん化・診療支援に資する公益性が高く、悉皆性のある画像等DBの構築及び質の高い教師付データの充実が促進された。
- 更に、これらの6学会に対して、研究開始時点から密な相互連携を義務づけ、AMED主体で立ち上げた連携会議で共通する課題を抽出し解決を図るとともに、国立情報学研究所が参画し、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集積システムを構築し、各学会のDB間の情報連携が可能となるような仕様が定まった。
- なお、集積されたデータを効率的かつ有効的に活用できるよう、次世代研究基盤構築に関する研究や、診療・研究目的のAI開発のための基盤整備に関する研究開発を並行して行った。
- これらの取組により、AIによる診断・治療支援のための基盤構築が加速され、世界的競争力を持つ日本発の医療用AI研究開発の速やかな発展に繋がることが期待される。

②革新的先端研究開発支援事業（AMED-CREST、PRIME、LEAP）

④－1　業務の効率化をより一層進め、顕著な成果をAMED他事業の応用研究へと主体的に繋げる仕組みを構築すべく、全プログラムのPS、POが一堂に会する全体会議において制度横断的また領域横断的な議論を行い、領域会議を研究者主導で実施すること等事業運営の変革に取り組んだ。LEAPについても選考方法の見直しなどを検討し、令和元年度より新たな方法での選考・採択を行った。

④－2　主としてマウスを対象とした実験から得られた優れた基礎研究成果を他の疾患別事業等へ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等を行うための新たな取組（FORCE）による研究開発を開始した。

④－3　国際水準の事前評価を行うため、AMED-CRESTにおいて国際レビューアの導入を平成29年度より検討。平成30年度は試行的に公募3領域中1領域へ導入し、令和元年度は2領域に拡充。さらに、令和2年度採択に向けた公募（令和2年3月24日開始）は全3領域へ適用した。これらを通じレビューアの探索から依頼までの仕組みを構築、AMED全体への導入へ繋がるモデルケースとなった。

④－4　革新的先端研究開発支援事業においてインパクトの高い成果を創出した。

③「ライフステージに応じた健康課題の克服」構想に基づく基礎研究基盤の強化

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

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑩健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発事業

AMED

④疾病に対応した研究（生活習慣病等）

■脳卒中を含む循環器系疾患、糖尿病、腎疾患、呼吸器系疾患などの生活習慣病、免疫アレルギー疾患、筋・骨・関節疾患、感覚器系疾患、泌尿器系疾患等の多岐にわたる疾患等に係る研究

- 循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業では、心不全患者の予後や治療応答性に関与するマーカー、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。
- 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同定し、創薬に向けた研究開発を進めるなど、複数の成果を得た。
- 免疫アレルギー疾患等実用化研究事業では、1件の新規外用剤の製造販売承認に至った。国際レビューアーの導入をした。
- 移植医療技術開発研究事業においては、便微生物移植を用いた消化管GVHDに対する画期的な治療法に関する技術開発や、臓器移植における抗体関連拒絶反応に関連するB細胞の抑制につながる薬剤開発に向けての臨床研究を推進した。
- 慢性の痛み解明研究事業において、新たな核酸医薬を開発した。

■ エイズ及び肝炎対策に資する研究

- 【エイズ事業】エイズ事業では、HIVの複製および再活性化に関する新たな知見を得た。新たなターゲットに作用する抗HIV薬のシーズも複数見いだされ、また、根治療法を目指した基盤研究が推進された。また、抗体誘導型ワクチンに関する研究も進捗され、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。
- 【肝炎事業】肝炎事業では、HCV排除後の肝線維化・肝発がんに関する研究が推進された。肝炎ウイルス治療薬に関して、複数のスクリーニング系の開発やシーズの同定を行った。また、HAV、HEVの動向調査やHBVの再活性化の実態解明により、ガイドラインに供する知見を得た。

■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

- 障害者対策総合研究開発事業では、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、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。

■ 終末期における高齢者への適時適切な医療や介護の提供に係る研究

- 長寿科学研究開発事業では、高齢者の多疾患併存と介護給付費との関連など医療・介護レセプト等のビッグデータの情報連結を進め、高齢者における複数の慢性疾患併存の社会的影響を明らかにした。

■ 老化メカニズムの解明・制御プロジェクト

- 研究推進・支援拠点では、解析支援を各年度において研究ニーズを踏まえながら支援を拡充し、研究開発拠点の研究を支援促進するとともに、革新的先端研究開発支援事業の支援も開始した。またリトリートやシンポジウム、市民公開講座等を開催し、事業内外の連携を促進し、事業全体の発展と老化関連研究の発展に向けた取組を行った。
- 研究成果としては、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、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ている。

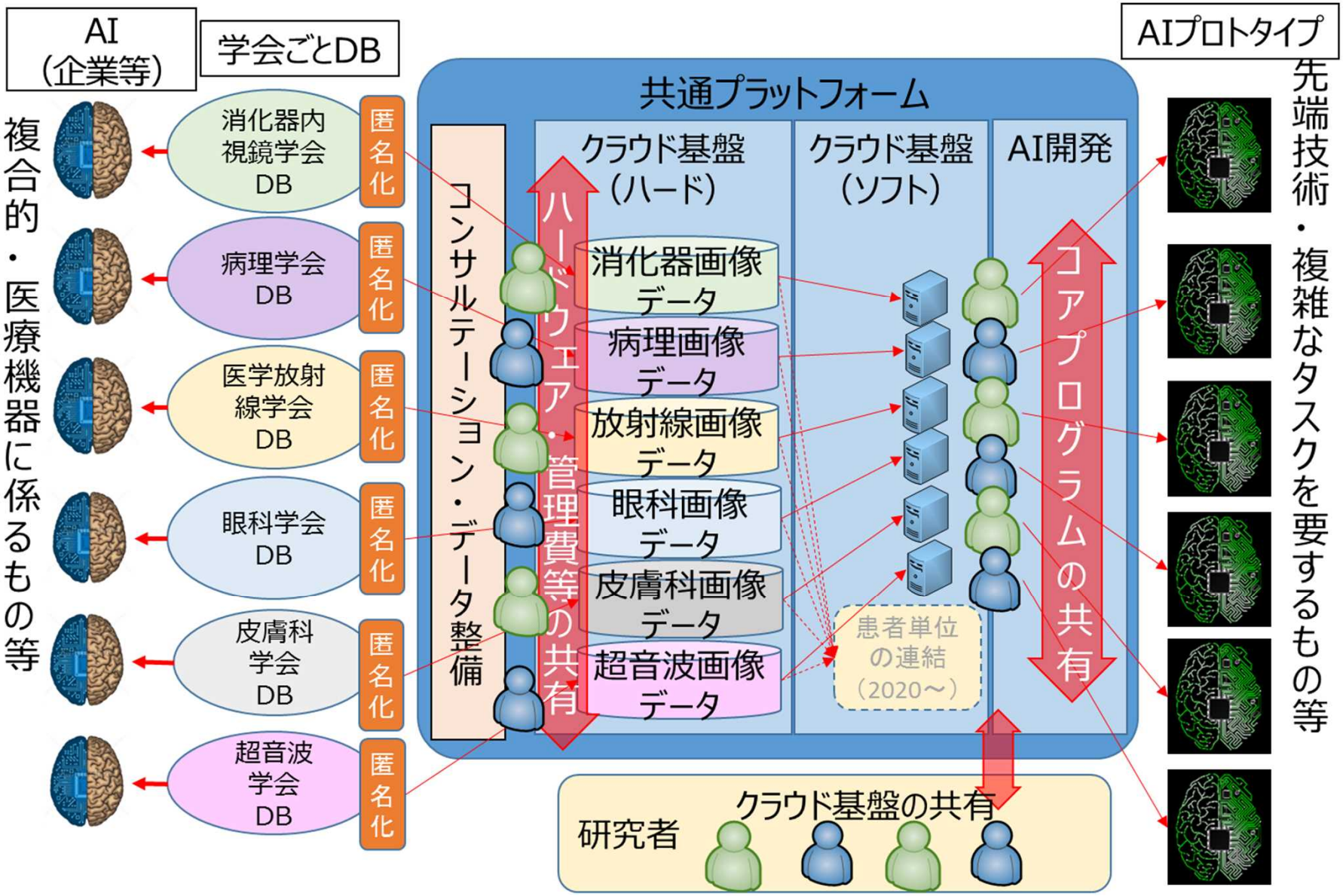
⑤産学連携医療イノベーション創出推進プログラム（ACT-M）、研究成果最適展開支援プログラム（A-STEP）の推進

- 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月から12月まで医師主導治験を実施し、本課題で開発した材料の安全性が確認された。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。
  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。
- （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。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑩健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発事業

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

令和元年度評価　期間実績評価



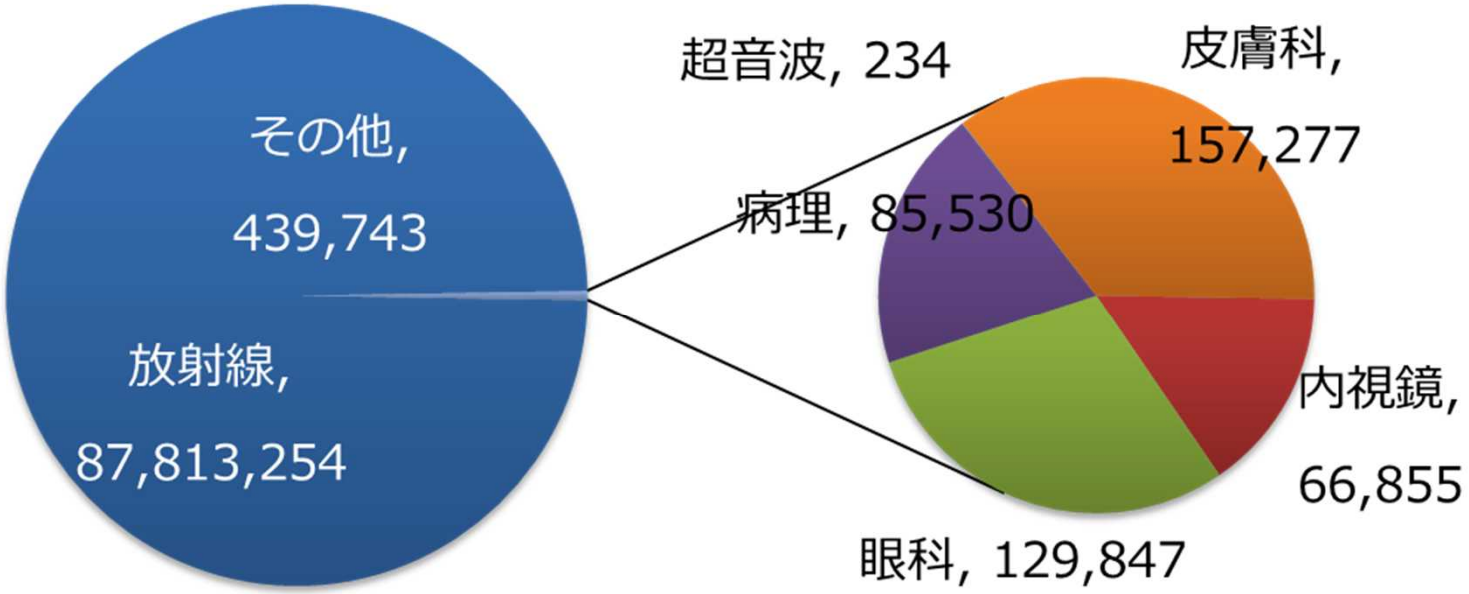
Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑩健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発事業

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

令和元年度評価　期間実績評価

令和2年2月末

学会	放射線	内視鏡	眼科	病理	超音波	皮膚科
画像枚数	87,813,254	66,855	129,847	85,530	234	157,277
施設数	5	5	15	20	2	15
ラベル	2,133	0	ALL	ALL	0	ALL
アノテーション	1,003	927	0	160	234	0



Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑩健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発事業

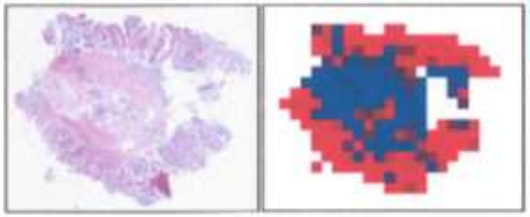
①学会主導の画像データベース構築等に関する研究
＜臨床研究等ICT基盤構築・人工知能実装研究事業＞

令和元年度評価　期間実績評価

AIによる胃生検ダブルチェック支援システム（日本病理学会の成果）

996症例の胃生検を機械学習させAIを開発

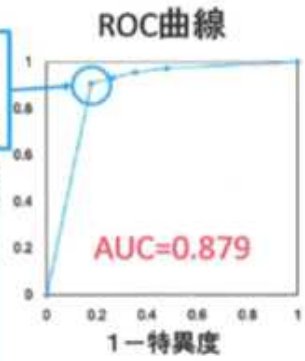
AIによる判定の例(赤：癌の可能性高い)



カットオフ値0.8の場合
病理医とAI判定の
不一致率16.2%を達成

重ね合わせ表示も可能

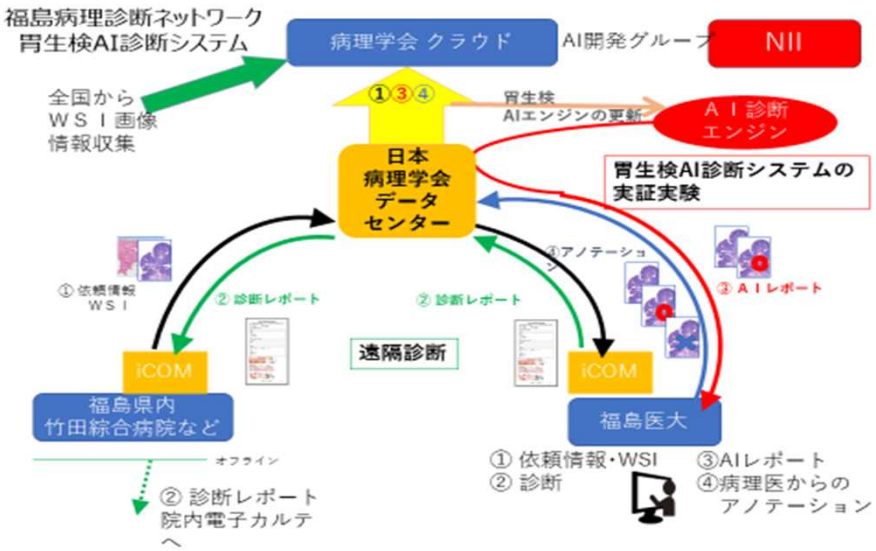




Cut off 異常度0.6の場合

		AI判定 Normal	AI判定 Cancer
病理医の診断	腫瘍でない	1602 (73.5%)	579 (26.5%)
	癌・腫瘍(疑い含む)	34 (6.7%)	470 (93.3%)

※WSI：Whole Slide Image
病理デジタル画像



Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑩健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発事業

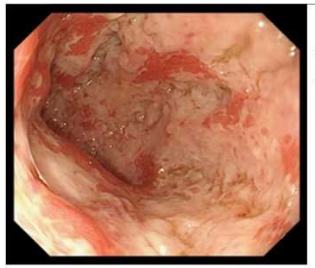
①学会主導の画像データベース構築等に関する研究
＜臨床研究等ICT基盤構築・人工知能実装研究事業＞

令和元年度評価　期間実績評価

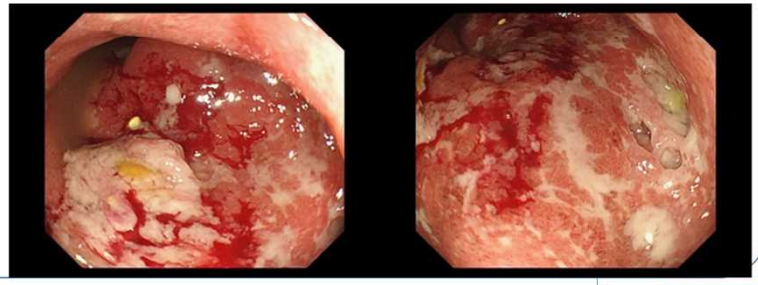
内視鏡検査時の見落としを軽減するシステムの開発

（日本消化器内視鏡学会及び国立情報学研究所の成果）

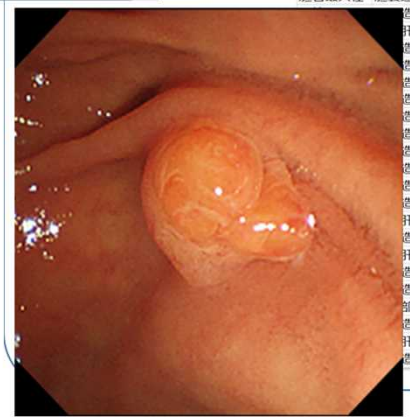
炎症性腸疾患に対する通常内視鏡による鑑別診断へのAI適応

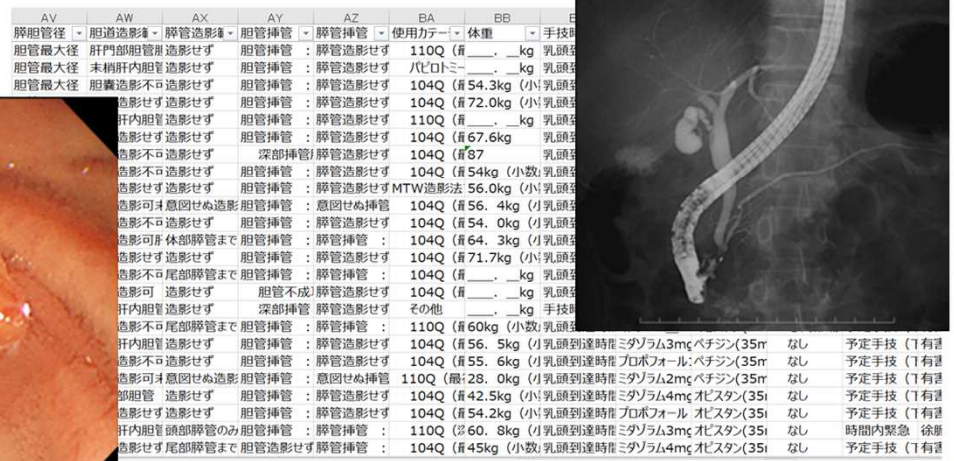


炎症性腸疾患(IBD)の代表的疾患
大腸は盲腸、上行、横行、下行、S状結腸、直腸に分類されるが
●それぞれの部位に程度の異なる所見がみられる
⇒一枚の画像で病変、診断、病期を判定できる
ほかの疾患と大きく異なる
⇒複数画像の統合診断にAIが役に立つかの検証を行う
●それら複数の所見を総合して判断する
●薬物療法においては、内視鏡の観察で治癒度を判断する



十二指腸乳頭の映像分類と臨床所見から手技難易度を予測





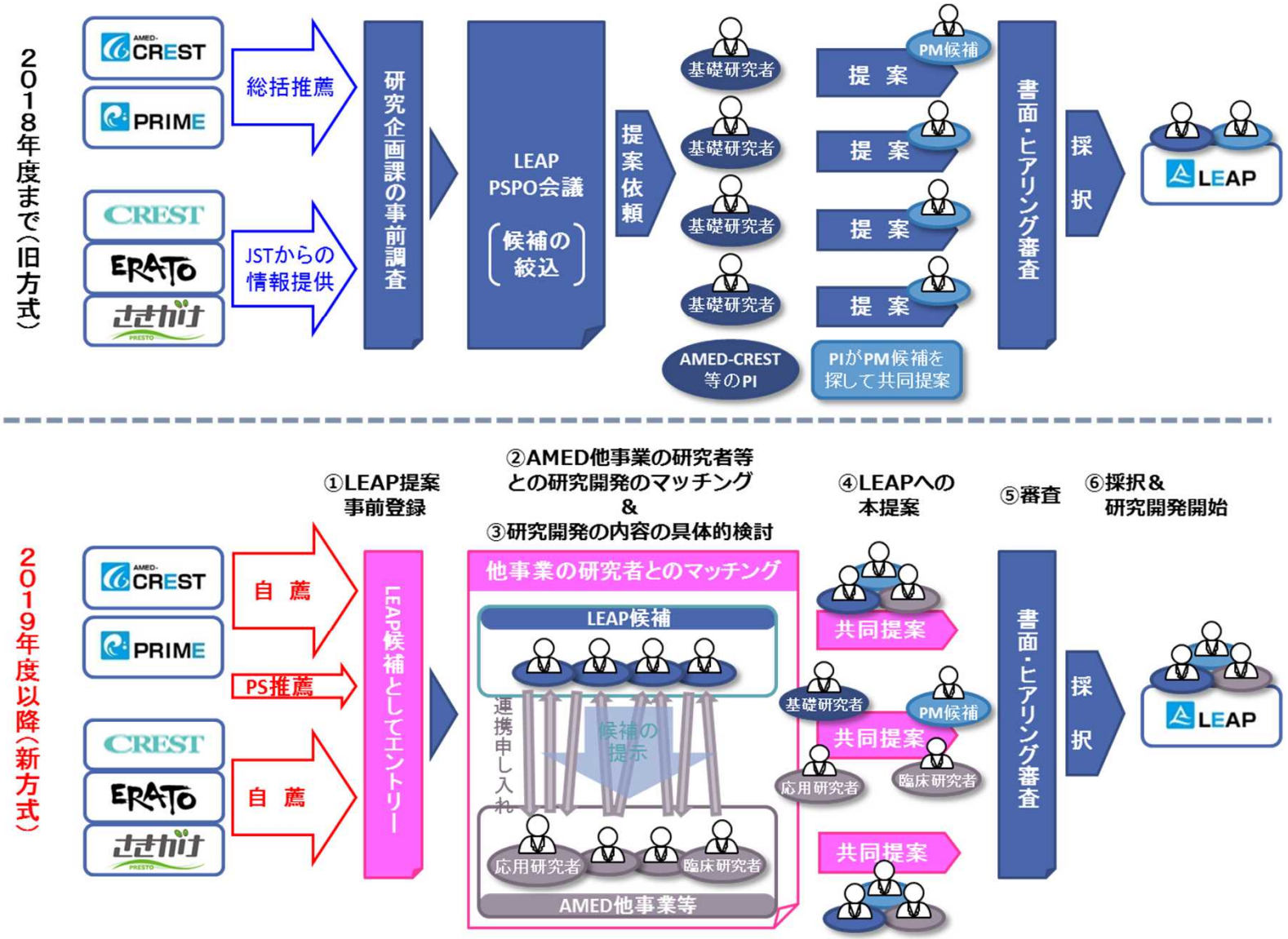
AV	AW	AX	AY	AZ	BA	BB	E
膵胆管径	胆道造影	膵管造影	胆管挿管	膵管挿管	使用カテー	体重	手技
胆管最大径	肝門部胆管	造影せず	胆管挿管	膵管造影せず	110Q（	___. __kg	乳頭
胆管最大径	末梢肝内胆	造影せず	胆管挿管	膵管造影せず	パピロトミー	___. __kg	乳頭
胆管最大径	胆嚢造影不	造影せず	胆管挿管	膵管造影せず	104Q（	54.3kg（小	乳頭
	造影せず	造影せず	胆管挿管	膵管造影せず	104Q（	72.0kg（小	乳頭
	肝内胆	造影せず	胆管挿管	膵管造影せず	110Q（	___. __kg	乳頭
	造影せず	造影せず	胆管挿管	膵管造影せず	104Q（	67.6kg	乳頭
	造影不	造影せず	深部挿管	膵管造影せず	104Q（	87	乳頭
	造影不	造影せず	胆管挿管	膵管造影せず	104Q（	54kg（小数	乳頭
	造影せず	造影せず	胆管挿管	膵管造影せず	MTW造影法	56.0kg（小	乳頭
	造影可	意図せぬ造影	胆管挿管	意図せぬ挿管	104Q（	56. 4kg（小	乳頭
	造影不	造影せず	胆管挿管	膵管造影せず	104Q（	54. 0kg（小	乳頭
	造影可	体部膵管まで	胆管挿管	膵管挿管	104Q（	64. 3kg（小	乳頭
	造影せず	造影せず	胆管挿管	膵管造影せず	104Q（	71.7kg（小	乳頭
	造影不	尾部膵管まで	胆管挿管	膵管挿管	104Q（	___. __kg	乳頭
	造影可	造影せず	胆管不成	膵管造影せず	104Q（	___. __kg	乳頭
	肝内胆	造影せず	深部挿管	膵管造影せず	その他	___. __kg	手技
	造影不	尾部膵管まで	胆管挿管	膵管挿管	110Q（	60kg（小数	乳頭
	肝内胆	造影せず	胆管挿管	膵管造影せず	104Q（	56. 5kg（小	乳頭到達時間	ミダゾラム3mg	ペチジン(35m	なし	予定手技（T有
	造影不	造影せず	胆管挿管	膵管造影せず	104Q（	55. 6kg（小	乳頭到達時間	プロポフォール	ペチジン(35m	なし	予定手技（T有
	造影可	意図せぬ造影	胆管挿管	意図せぬ挿管	110Q（最	28. 0kg（小	乳頭到達時間	ミダゾラム2mg	ペチジン(35m	なし	予定手技（T有
	部胆管	造影せず	胆管挿管	膵管造影せず	104Q（	42.5kg（小	乳頭到達時間	ミダゾラム4mg	オピスタン(35	なし	予定手技（T有
	造影せず	造影せず	胆管挿管	膵管造影せず	104Q（	54.2kg（小	乳頭到達時間	プロポフォール	オピスタン(35	なし	予定手技（T有
	肝内胆	頭部膵管のみ	胆管挿管	膵管挿管	110Q（	60. 8kg（小	乳頭到達時間	ミダゾラム3mg	オピスタン(35	なし	時間内緊急 徐
	造影せず	尾部膵管まで	胆管造影せず	膵管挿管	104Q（	45kg（小数	乳頭到達時間	ミダゾラム4mg	オピスタン(35	なし	予定手技（T有

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑩健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発事業

令和元年度評価

②革新的先端研究開発支援事業

②－１　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導入

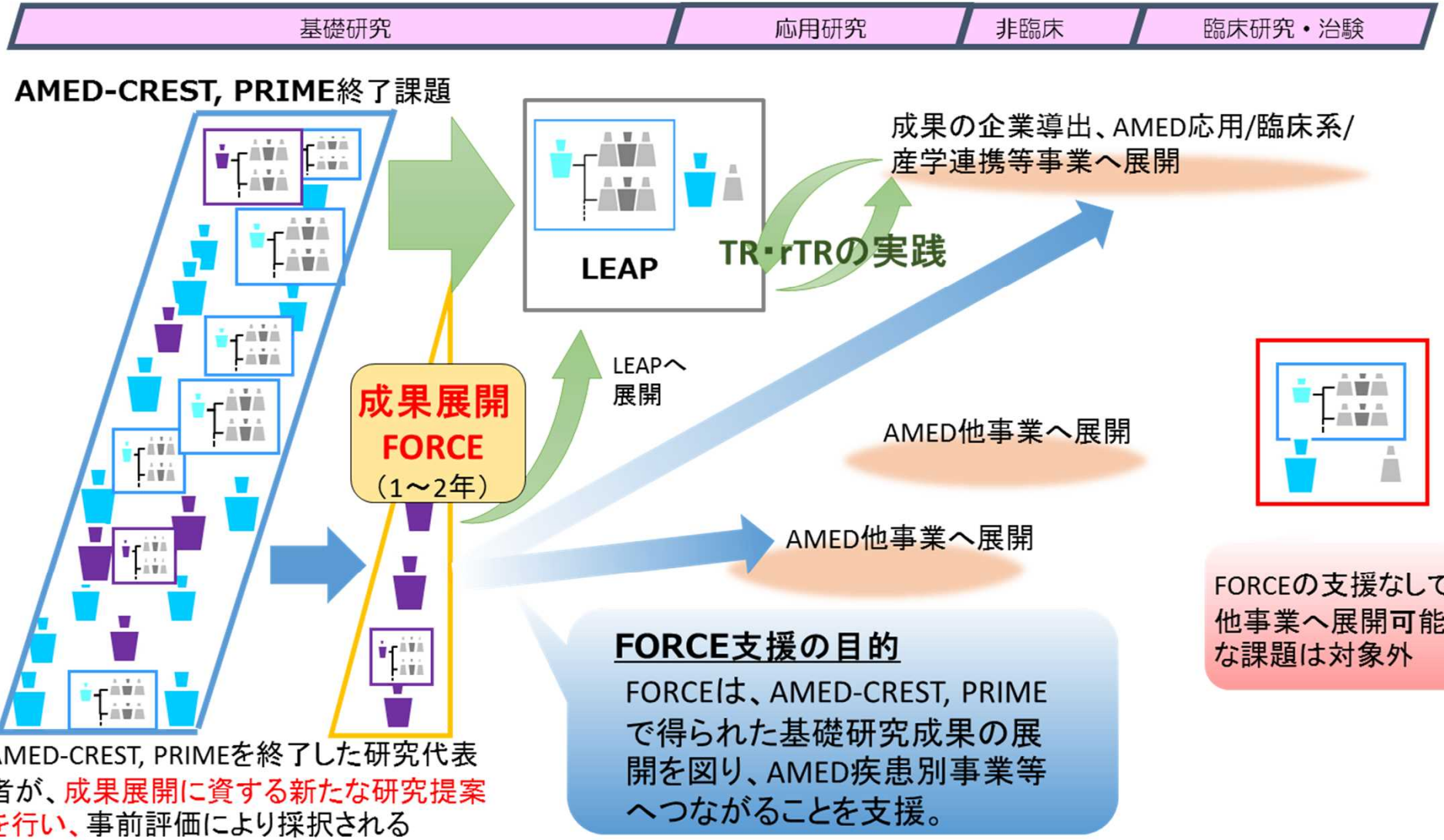


Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑩健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発事業

令和元年度評価

②革新的先端研究開発支援事業

②－２ 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取組であるFORCEを令和元年度より開始



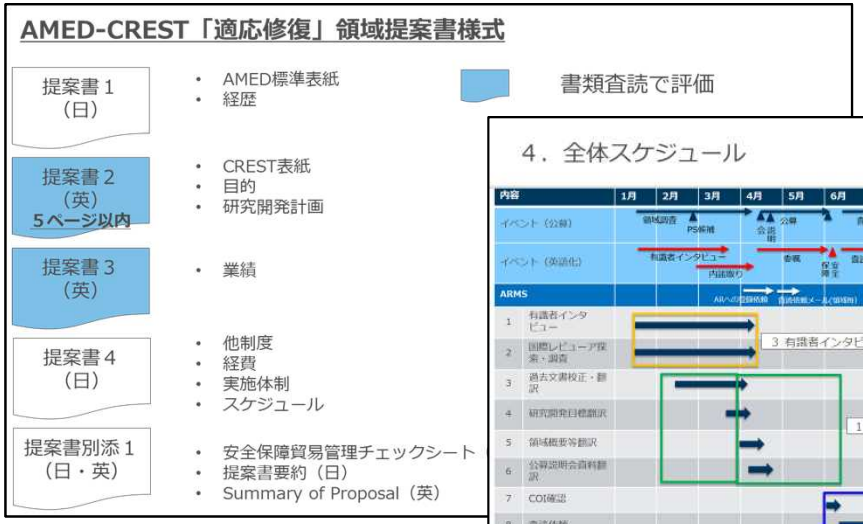
Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑩健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発事業

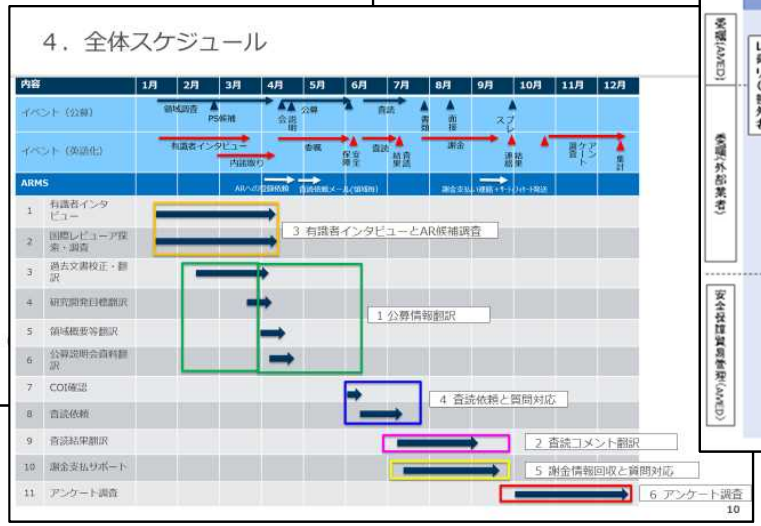
期間実績評価

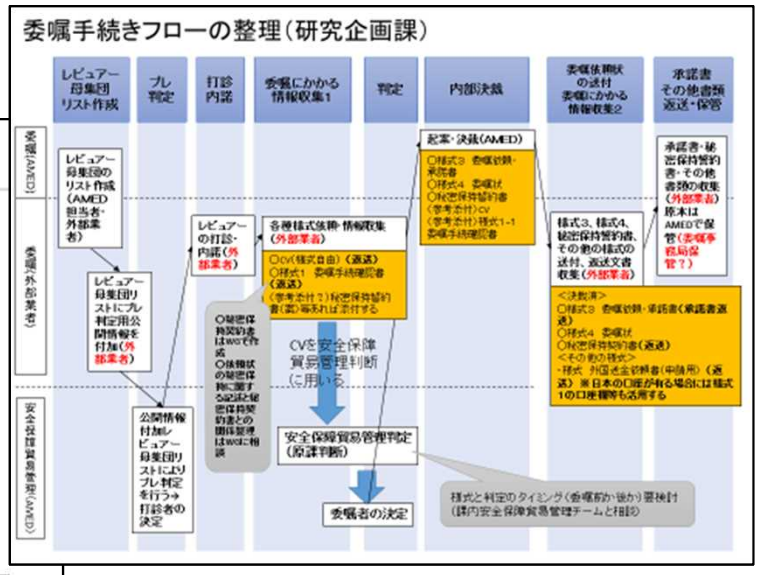
②革新的先端研究開発支援事業

②－３　国際水準の事前評価を行うため、AMED-CRESTにおいて国際レビューアの導入を平成29年度より検討。平成30年度は試行的に公募3領域中1領域へ導入し、令和元年度は2領域に拡充。さらに、令和2年度採択に向けた公募（令和2年3月24日開始）は全3領域へ適用した。これらを通じレビューアの探索から依頼までの仕組みを構築、AMED全体への導入へ繋がるモデルケースとなった。

	平成30年度	令和元年度	令和2年度
対象領域	1領域/3領域	2領域/3領域	3領域/3領域
国際レビューア数	19名	39名	（未定）
提案数	62件	101件	（未定）
採択数	5件	9件	12件（予定）







Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑩健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発事業

②革新的先端研究開発支援事業

期間実績評価

②－４　革新的先端研究開発支援事業における「インパクトの高い事例」

腸管への口腔常在菌の異所性定着による免疫の過剰活性化メカニズム

【本田　賢也　採択時～現在：慶應義塾大学医学部　教授・理化学研究所生命医科学研究センター　チームリーダー】
（2012～CREST・AMED-CREST・LEAP）

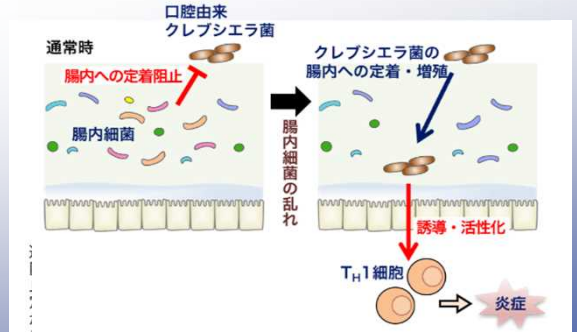
（成果の概要・インパクト）

・口腔に存在するクレブシエラ菌が腸管内に定着することで、T_H1細胞と呼ばれる免疫細胞の過剰な活性化を引き起こし、炎症性腸疾患（クローン病や潰瘍性大腸炎）などの発症に関与する可能性を示す。

・細菌を標的とした炎症性疾患の新たな予防法や治療薬、診断薬の開発が期待。

・本成果については、企業が独占実施権を取得し、開発を進めている。

・本成果は2017年10月に「Science」に掲載。



クレブシエラ菌によるT_H1細胞の活性化

脳梗塞慢性期において神経症状を回復させる脳内制御性T細胞を発見

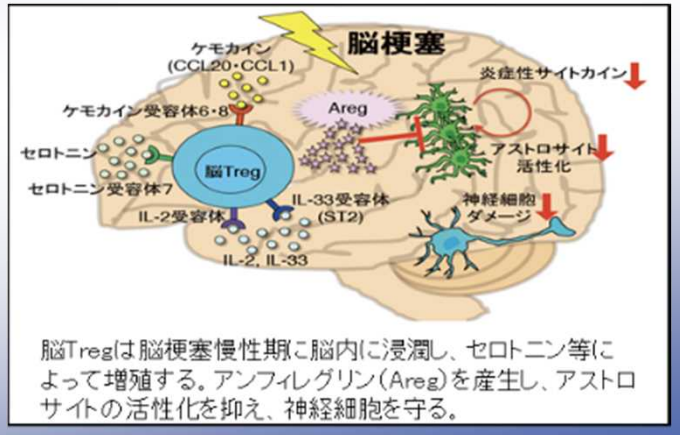
【吉村　昭彦　慶應義塾大学医学部　教授】
（2018～ AMED-CREST）

（成果の概要・インパクト）

・脳梗塞の慢性期に梗塞部位に制御性T細胞が増加し、脳内の神経修復過程を制御していることを発見。この制御性T細胞はセロトニンによって増殖、活性化する。

・脳内セロトニンに作用する抗うつ薬が、脳梗塞の慢性期の治療に役立つことが期待。

・本成果は2019年1月に「Nature」に掲載。



脳Tregは脳梗塞慢性期に脳内に浸潤し、セロトニン等によって増殖する。アンフィレグリン(Areg)を産生し、アストロサイトの活性化を抑え、神経細胞を守る。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑩健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発事業

令和元年度評価

②革新的先端研究開発支援事業

②－４　革新的先端研究開発支援事業における「インパクトの高い事例」

細胞表面の情報センサーの基本原理を解明―センサータンパク質に作用するくすりの開発に貢献―

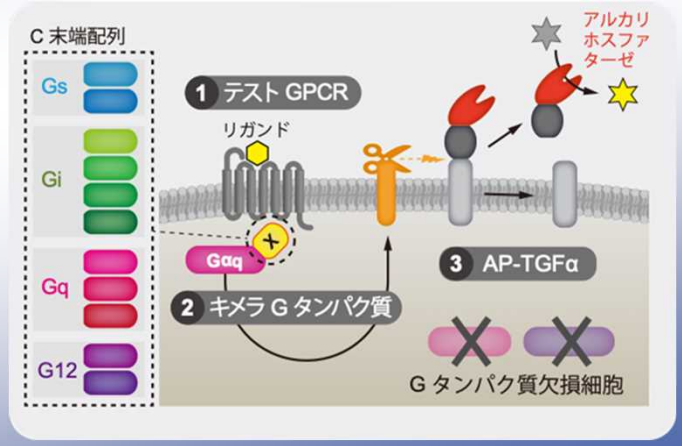
【井上　飛鳥　東北大学大学院薬学研究科　准教授】(2016～PRIME)
【青木淳賢　東北大学大学院薬学研究科　教授】(2017～LEAP)

（成果の概要・インパクト）

・くすりの主要な標的となる、細胞表面のセンサータンパク質が細胞に情報を伝える仕組みを明らかにした。

・情報伝達の知見を利用することで、細胞表面センサーに作用する新たな疾患治療薬や副作用を抑えたくすりの開発につながる。

・本成果は、2019年5月に「Cell」に掲載。



妊娠中に親が食物繊維を摂取することで子が肥満になりにくい体質に―

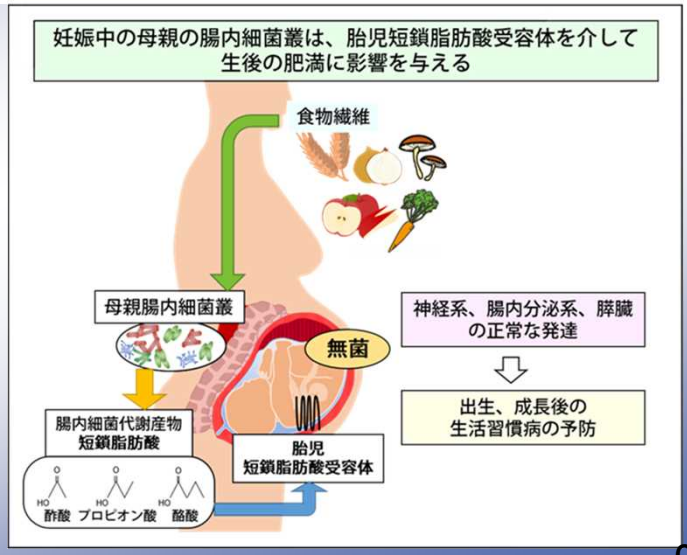
【木村　郁夫　東京農工大学大学院農学研究院　教授】
（2017～AMED-CREST）

（成果の概要・インパクト）

・妊娠中の母親の腸内細菌が産生する短鎖脂肪酸が胎児の発達に影響を与えることによって、出生後の子の代謝機能の成熟に関与し、その結果、肥満発症の抑制に繋がることを明らかにした。

・周産期における母体の食生活や腸内環境の改善など、母体の栄養管理を介した先制医療や予防医学による新たな治療法の確立に向けて、今後、本成果の応用が期待される。

・本成果は2020年2月に「Science」に掲載。



Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑩健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発事業

期間実績評価

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

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

これらの課題解決のため、成育疾患克服等総合研究事業（BIRTHDAY）と女性の健康の包括的支援実用化研究事業（Wise）とが一体となり、少子化問題を解決する研究として今支援すべき分野は何か、ライフステージを考えて連携が必要な分野は何かを考え、少子化・ライフステージに応じた健康課題の克服を見据えた課題のアイディア出しと意識共有のために、PSPO、AMED、厚労省（国からの視点）、外部有識者（ベーシックサイエンス・疫学の視点）を会した会議を平成29年度に複数回実施。

平成30年度における関連動向として、
4月：第4回経済財政諮問会議にて、健康寿命延伸に向け、重点取組分野として成育分野の必要性が明記
8月：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実施。
10月：関連学会がAMED理事長と意見交換
12月7日：衆参両院で『成育基本法』可決成立
これを受け、成育疾患克服等総合研究事業の平成31年度研究開発予算は**前年度比80%**増と、大幅に拡充された。

さらに、 本事業で打ち出された「ライフステージに応じた健康課題の克服」という構想に基づいて立案された研究開発目標「健康・医療の質の向上に向けた早期ライフステージにおける分子生命現象の解明」が平成31年度に設定されることとなった。本戦略目標に基づき運営されるAMED-CREST、PRIMEと適切に連携することにより、各事業から創出される成果の最大化を目指す。

AMED-CREST　PRIME

所管省庁を跨いだ事業間連携による成果の最大化を期待

BIRTHDAY　Wise

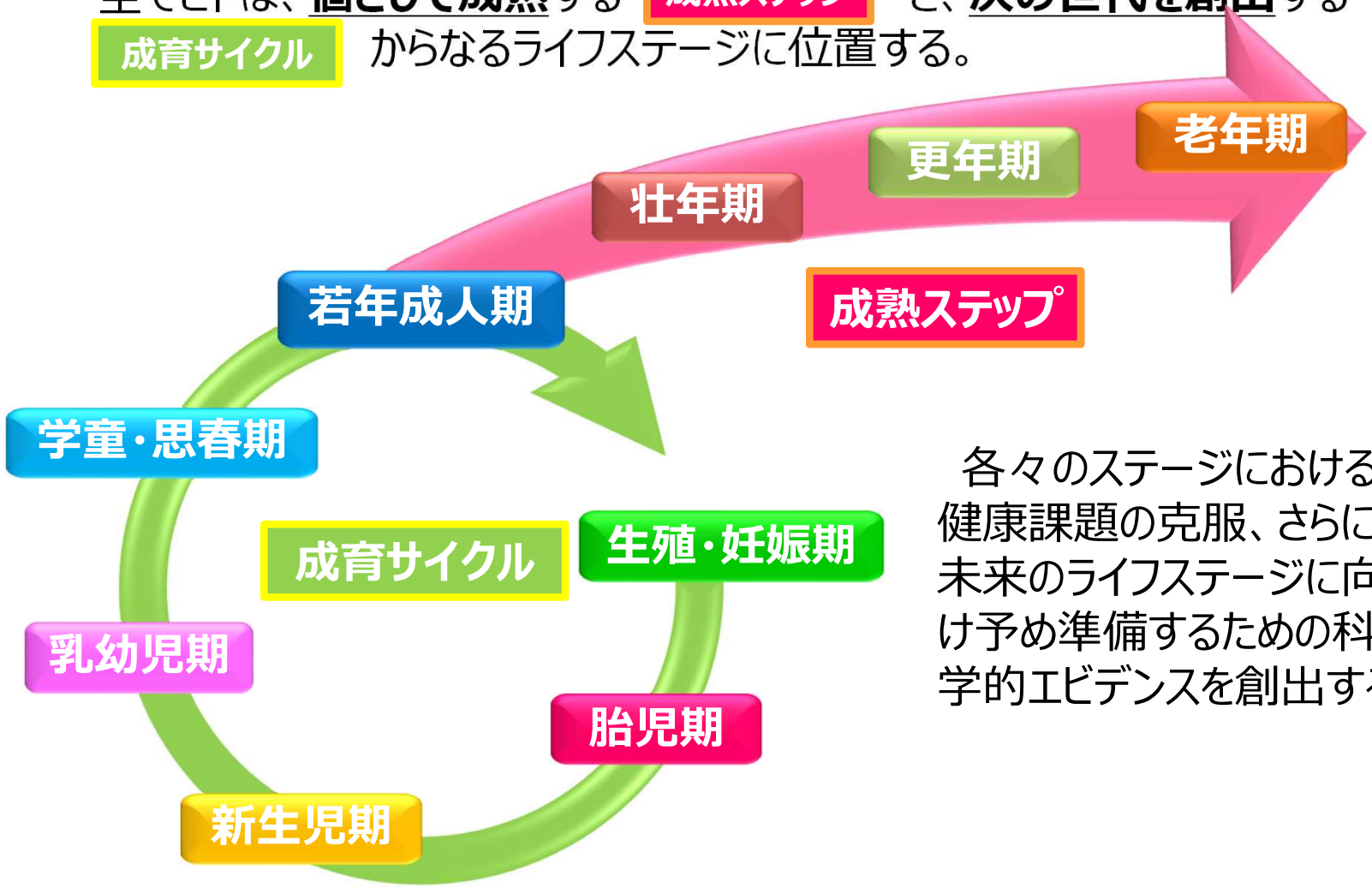
Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑩健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発事業

期間実績評価

③成育疾患克服等総合研究事業-BIRTHDAY ライフコースアプローチ構想

Everyone goes through differential life stages

全てヒトは、**個として成熟**する 成熟ステップ と、**次の世代を創出**する 成育サイクル からなるライフステージに位置する。



各々のステージにおける健康課題の克服、さらには未来のライフステージに向け予め準備するための科学的エビデンスを創出する。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑩健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発事業

期間実績評価

③成育疾患克服等総合研究事業-BIRTHDAY



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。

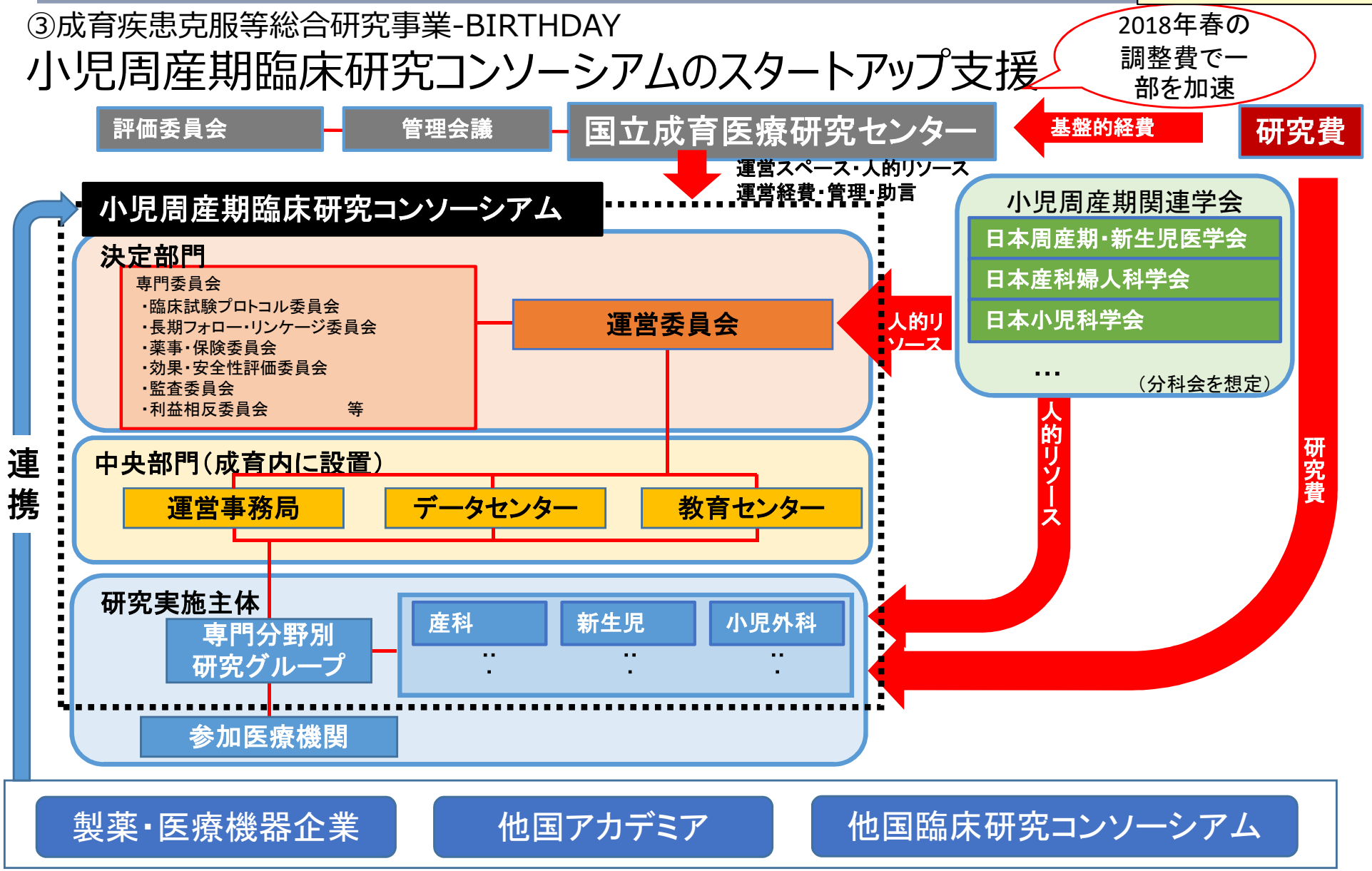
平成30年8月2日　AMEDのHPに掲載

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑩健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発事業

期間実績評価

③成育疾患克服等総合研究事業-BIRTHDAY

小児周産期臨床研究コンソーシアムのスタートアップ支援



俯瞰図①「異分野融合による母児相互シグナリングシステムの解明」これまでの研究や技術開発等（分野俯瞰図）

期間実績評価

フェーズ

【将来の社会像】 Well-beingの促進：将来を担う**次世代**への貢献

応用
臨床・発展

社会への波及

予防・改善への取り組み

- 社会啓蒙：母児保健教育
- 検診や環境への社会的取り組み　等

科学への波及

原因解明と適切な**介入**ポイントの特定

- 環境要因と発達可塑性の解明　等

革新的な解析技術創出

- 超微量解析技術の開発　等

産業への波及

社会還元可能な**技術**や**モノ**の導出

- 機能性食品・栄養補助食品の開発
- 医療機器の開発　等
- バイオマーカーとしての臨床展開　等

母児の連関を示す生体制御機構の解明や各種解析基盤技術の革新

FY19-27：本戦略目標

異分野融合による母児相互シグナリングシステムの解明

統合的に事象を捉え、事象の解決と新たな技術革新を目指す

多くの外的要因が事象の解決を困難に
栄養状態　ストレス　感染 等

特に環境にも影響される
高次のゲノム機能構造単位の理解と制御の重要性

未来のライフステージが抱える問題 × 日本が元来得意とする解析基礎技術の融合

基礎
原理解明
事象

臨床医学・疫学分野で認められる事象

「母」と「児」における**日本特有の環境変化**

- 少子化 ＋ 晩婚化
- 低出生体重児の増加
- 発達障害の増加



生まれつき高い疾患発症リスクを負担している可能性

DOHaD学説
(Developmental Origins of Health and Disease)

諸分野での基盤解析の発展

事象解明のために既存分野を超えて**「多次元」**で捉える基盤技術

- エピジェネティクス
- 代謝機能
- 生殖・発生
- 脳・神経
- 免疫

→ 分子生物学分野 生化学分野 / 情報学分野 / 工学分野

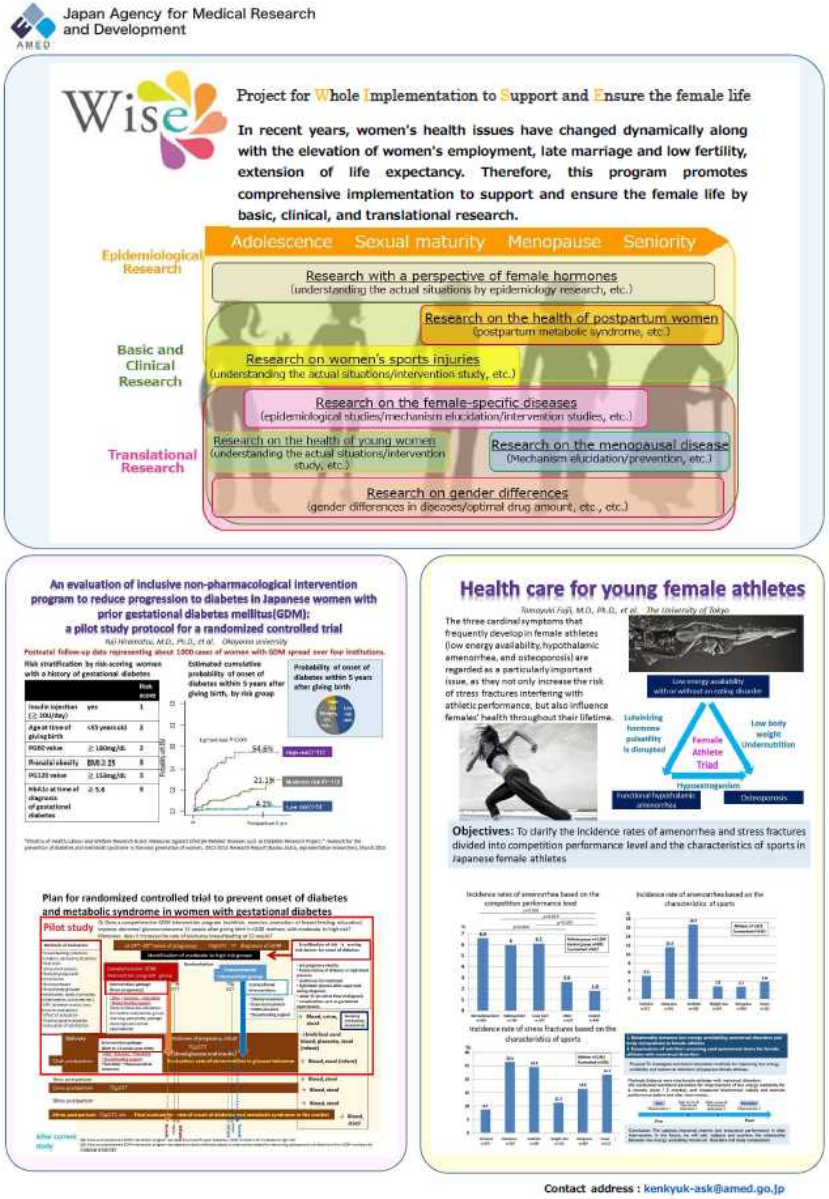
→ 核内構造解析 / イメージング解析 / 多層オミクス解析 / 情報解析 / 数理モデル構築 / 計測技術　等

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑩健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発事業

期間実績評価

③女性の健康の包括的支援実用化研究事業-Wise

●JSTのジェンダーサミットにポスター参加



●新生児サイトメガロウイルス診断法の開発

尿中のCMV検出による先天性感染の確定診断を目的とした新規の核酸検査技術の臨床開発を実施し、平成29年6月に製造承認を得、平成30年1月、体外診断薬としての承認、および保険適応の承認を受けた。この検査法により、診断が困難であった感染児の早期発見が可能となった。

平成28年6月　製造承認　平成29年1月　薬事承認

●冠動脈疾患が疑われる場合のCT検査の意義には性差を認める

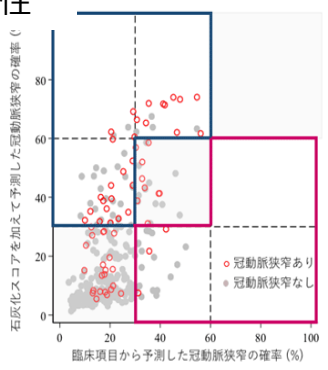
―なでしこ研究―　　平成30年2月15日プレスリリース

Heart. 2018 Jan 13 Epub

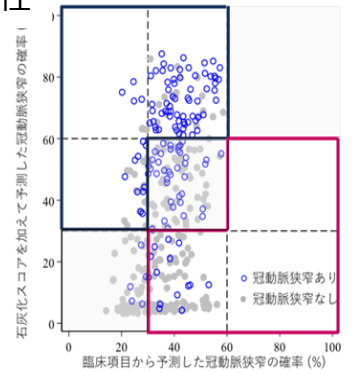
「女性の冠動脈疾患診断およびリスク層別化における、冠動脈CTの多面的解剖学的指標および新規機能的指標の意義と費用効果分析」

冠動脈狭窄予測能の性差

女性



男性



Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑩健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発事業

期間実績評価

④老化メカニズムの解明・制御プロジェクト
技術支援・解析支援体制の構築（研究推進・支援拠点）

老化メカニズムの解明・制御プロジェクト　技術支援・解析支援体制

研究開発拠点
- 老化機構・制御研究拠点
- 個体・臓器老化研究拠点

申請（ホームページ）
事務局：研究推進・支援拠点

H29年度　解析支援実績（19件）
↓
H30年度　解析支援実績（48件）
↓
R01年度　解析支援実績（64件）

審査委員会

審査委員長：技術支援統括、
審査員：PS、担当PO、拠点長

革新的先端研究開発支援事業
AMED-CREST/PRIME（機能低下）

申請開始
↓ 申請
総括、副総括
↓ 審査
採択候補課題（案）の選定・決定*
↓
承諾通知

研究推進・支援拠点
(1) 加齢マウス供給申請支援　(2) 寿命解析支援　(3) 病理・病態解析支援　(4) 老化指標解析支援
(5) メタボローム解析支援　(6) 微細形態解析・イメージング解析支援　(7) ゲノム編集支援
(8) 生物情報解析・ビッグデータ支援

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑩健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発事業

④老化メカニズムの解明・制御プロジェクト

・肝臓の再生を促す仕組みを解明
（「個体・臓器老化研究拠点」 研究開発代表者：片桐　秀樹・東北大学大学院医学系研究科）

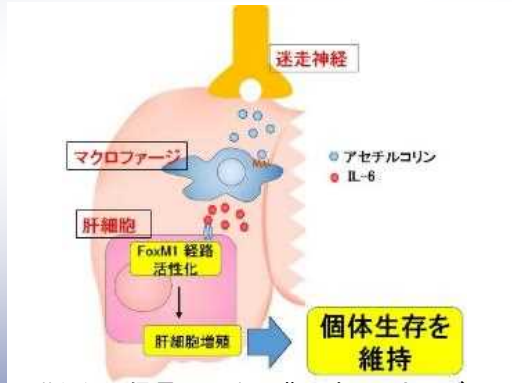
・皮膚の若さの維持と老化のメカニズムを解明
（「個体・臓器老化研究拠点」 研究開発分担者：西村　栄美・大阪大学微生物病研究所）

期間実績評価

個体レベルでの老化進展に関わる臓器連関機構の解明とその制御

（2017年度～ 「個体・臓器老化研究拠点」）
【片桐　秀樹　採択時～現在：東北大学大学院医学系研究科　教授】

（成果の概要・インパクト）
・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メカニズムを解明。
・自律神経の一種である迷走神経が肝臓内の免疫細胞（マクロファージ）を刺激し、肝臓再生を促進するメカニズムを解明。
・神経細胞を活性化することで重傷肝臓障害の生存率を回復させることに成功。
・肝臓再生の新たな仕組みの解明とともに、老化のメカニズムの解明につながることが期待。
・本成果は2018年12月に「Nature Communications」に掲載。



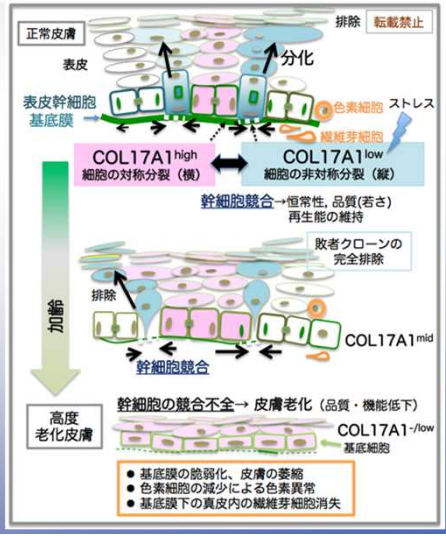
脳からの信号による肝臓再生のメカニズム

令和元年度評価

血管老化の分子機構の解明とその制御

（2017年度～ 「個体・臓器老化研究拠点」）
【西村　栄美　採択時～現在：東京医科歯科大学難治疾患研究所　教授】

（成果の概要・インパクト）
・表皮幹細胞が隣接する幹細胞との間で細胞競合を行うことによって皮膚の質（若さ）と恒常性を維持していることを発見した。
・加齢によって表皮幹細胞のXVⅡ型コラーゲン（COL17A1）を介した細胞競合が減弱すると皮膚の老化が起きることを明らかにした。
・幹細胞競合の制御による抗老化、再生、加齢関連疾患の予防や治療への道が開かれました。
・本成果は2019年4月に「Nature」に掲載。



Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑩健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発事業

期間実績評価

④老化メカニズムの解明・制御プロジェクト

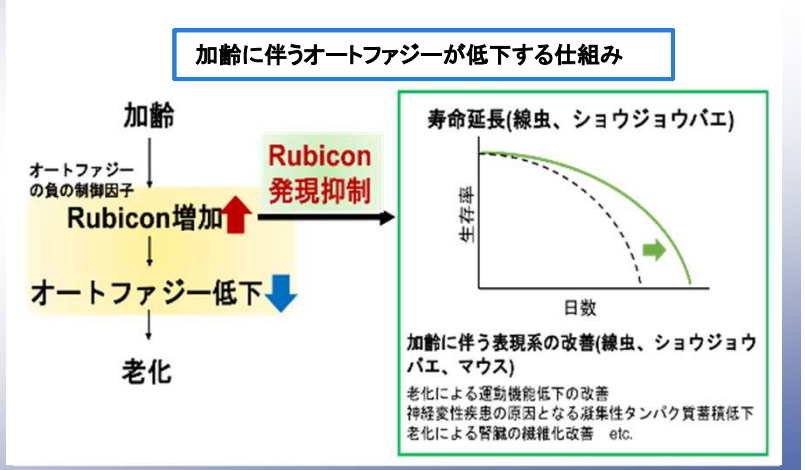
・オートファジー制御による老化機構を解明
（「老化機構・制御研究拠点」 研究開発分担者：吉森　保・大阪大学大学院医学系研究科）

・遺伝子のスイッチ役を「見える化」
（「老化研究推進・支援拠点」 研究開発分担者：沖 真弥・九州大学大学院医学研究院）

オートファジーによる寿命延長機構の解明

（2017年度～老化機構・制御研究拠点）
【吉森　保　採択時～現在：大阪大学大学院医学系研究科　教授】

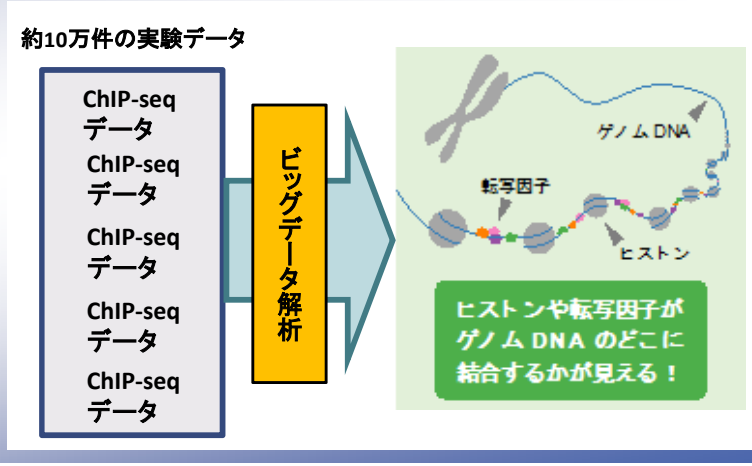
（成果の概要・インパクト）
・加齢に伴いオートファジーが低下する現象のメカニズムを解明。
・オートファジーを抑制する因子であるルビコンが加齢に伴い、増加することを発見。
・ルビコンを抑制し、オートファジーを活発化させることで老化現象の改善や寿命が延伸することを見出し、神経変性疾患の原因となるタンパク質の蓄積や腎臓の繊維化が軽減する現象を発見。
・ルビコンの抑制機構の解明により寿命延伸や老化現象の改善のための創薬開発へ期待。
・本成果は2019年2月に「Nature Communications」に掲載。



ゲノム情報の機能的アノテーション

（2017年度～老化研究推進・支援拠点）
【沖 真弥　採択時～現在：九州大学大学院 医学研究院　助教】

（成果の概要・インパクト）
・世界中から報告された約10万件のChIP-seqビッグデータを全て収集し、スーパーコンピューターで統合解析し、「見える化」したWebサービスを開発。
・ヒストンや転写因子がゲノムDNAに結合する位置情報を全て可視化することに成功。
・組織や臓器を形成する司令塔となるタンパク質の探索に応用。
・ビッグデータを高次解析し、転写因子を予測することで再生医療への応用に期待。
・本成果は2018年11月に「EMBO Reports」に掲載。



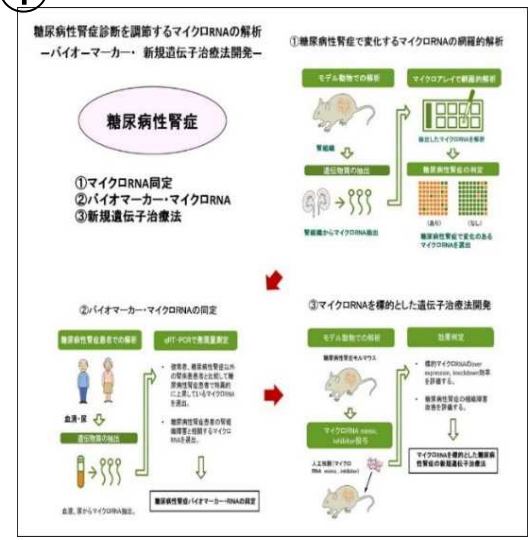
Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑩健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発事業

令和元年度評価　期間実績評価

糖尿病性腎症のバイオマーカー同定

循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業

①



②



・「糖尿病性腎症を調節するマイクロRNAの解析ーバイオマーカー・新規遺伝子治療法開発ー」では糖尿病性腎症のバイオマーカーとなるマイクロRNAをH30年度に同定した。

・「エピゲノム情報を用いた糖尿病性腎症に対する新規診断・治療法の開発」では糖尿病性腎症による尿細管障害のバイオマーカーとなるDNAメチル化異常をH30年度に同定した。

・生活習慣病の発症・重症化を予測出来る数々のバイオマーカーを同定するとともに、新しい治療法の開発に繋がるシーズを同定した。

脳関門通過型核酸医薬の開発

慢性の痛み解明研究事業

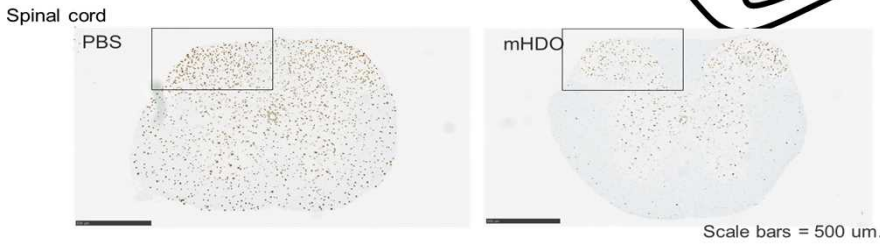
脊髄・後根神経節疼痛遺伝子を標的としたDNA/RNAヘテロ核酸



2本鎖DNA/RNA

PCT/JP2012/083180





・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新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H30年度に確認した。

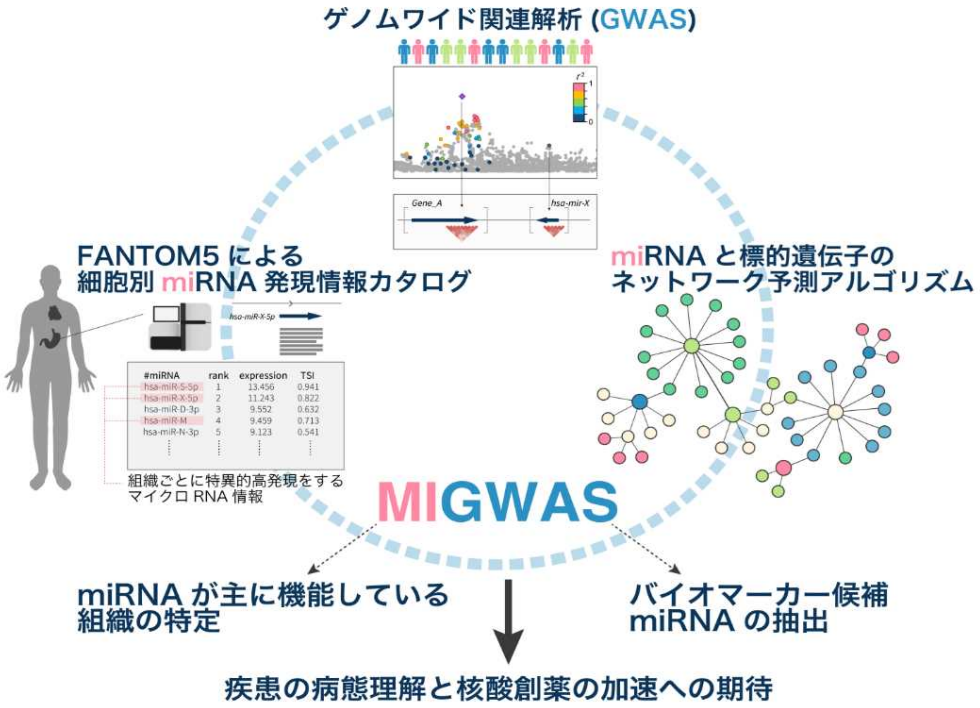
・既存の治療薬では、改善しない慢性疼痛に対して新たな核酸医薬を開発し、慢性の痛みの新たな治療方法の開発、生活の質を向上を目指す取り組みを推進した。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑩健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発事業

令和元年度評価　期間実績評価

疾患ゲノム情報と組織特異的マイクロRNA発現情報の統合により、関節リウマチのバイオマーカーを同定

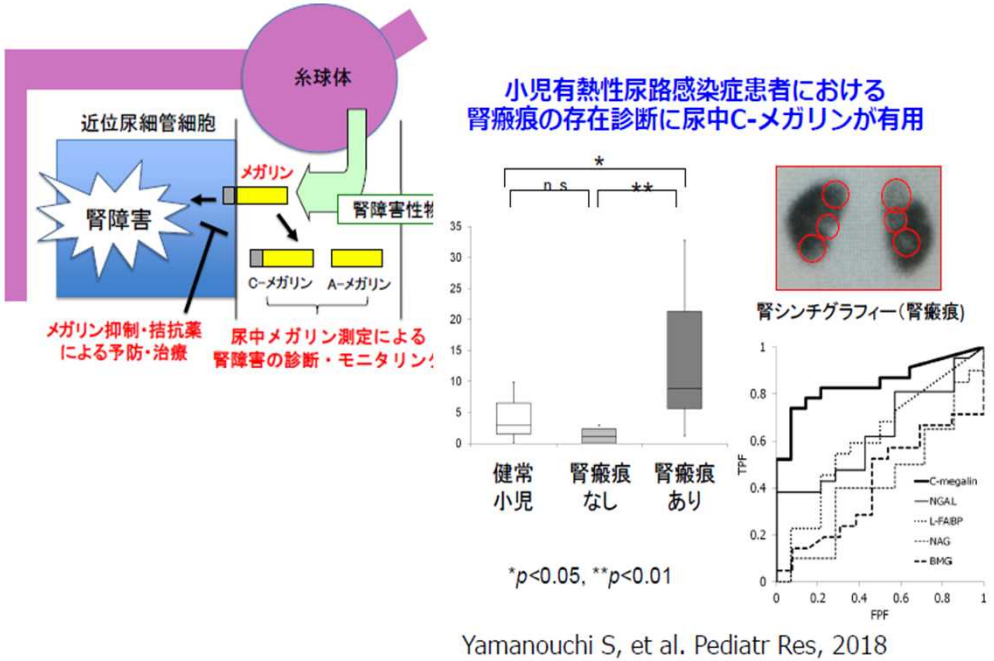
免疫アレルギー実用化研究事業



・大規模疾患ゲノムワイド関連解析手法と、FANTOM5コンソーシアムが構築したマイクロRNA組織特異的発現カタログデータを統合する**インシリコスクリーニング手法MIGWAS**を開発し、マイクロRNAが組織特異的に作用することで数多くのヒト疾患の発症に関与していることを明らかにした。
・マイクロRNAが組織特異的発現を介して数多くの疾患の発症に関与していることを解明し、**関節リウマチの発症に関わる複数のマイクロRNAをバイオマーカーとしてH30年度に同定**した。
・マイクロRNAと疾患病態の機能解析の加速と、マイクロRNAのバイオマーカーや核酸創薬におけるスクリーニングに貢献すると期待される。

腎障害の診断・モニタリングに用いるバイオマーカーの開発

腎疾患実用化研究事業



Yamanouchi S, et al. Pediatr Res, 2018

・C-メガリンが 小児有熱性尿路感染症患者における腎瘢痕の診断マーカーとしても有用である可能性をH30年度に見いだした。
・マウスを用いた基礎研究により、メガリン抑制薬の候補薬（ドラッグ・リポジショニング）投与により、近位尿細管細胞においてメガリンがmRNA発現レベルで抑制されていることを確認した。
・C-メガリンが糖尿病性腎症進展のマーカーであることなど複数の成果を明らかにした。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑩健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発事業

令和元年度評価

④エイズ及び肝炎対策に資する研究

＜概要＞

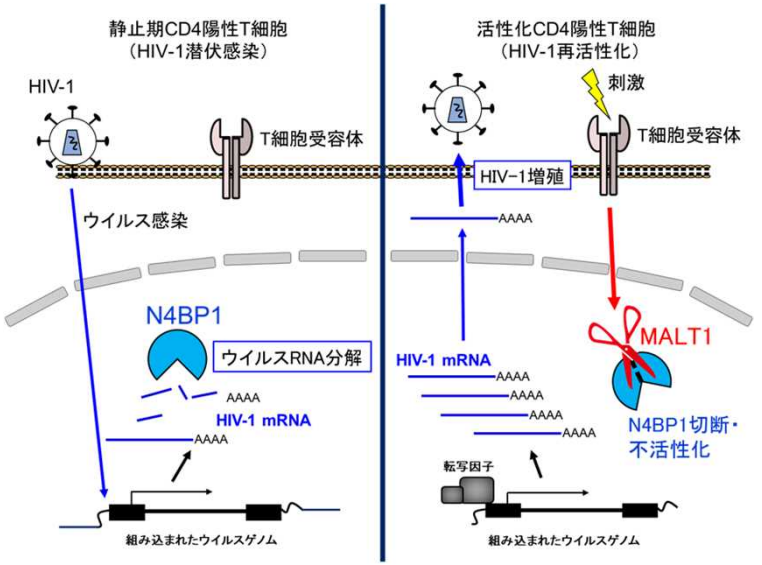
エイズ事業では、厚労科研と共同で行う成果報告会等を通じ、エイズ対策研究事業の適正かつ円滑な実施を図った。肝炎事業では、進捗管理や公募課題設定に資する情報を収集するため、キックオフミーティングと研究進捗ヒアリングを開催した。肝炎事業の新規公募では若手枠を設定し、国際レビューアによる査読を実施した。また他部課との連携により、研究代表者からの知財相談や企業への導出に係る相談を積極的に受け、特許出願、企業とのマッチングなどのアドバイスを行った。

＜エイズ対策に資する研究＞主な研究開発成果

○MALT1により分解されない変異N4BP1は、HIV-1潜伏感染細胞のPMA刺激による再活性化を抑制することから、MALT1によるN4BP1分解は、HIV-1潜伏感染細胞の再活性化に寄与することを明らかにした。（図）

○HIV感染症の根治治療法として有望となりうるiPS 細胞由来造血幹細胞移植療法およびリザーバー縮減療法を評価、解析するための新規HIV感染霊長類モデルを新たに作成した。

○抗HIV薬の抗ウイルス効果、副作用の発現頻度、薬剤変更時における有害事象の発生リスク等、実臨床で必要なデータや知見の集積・解析を行い、安全な抗HIV療法の実施に必要な情報の提供を行った。



（図）N4BP1によるHIV-1mRNA分解とその制御メカニズム

＜肝炎対策に資する研究＞主な研究開発成果

○C型慢性肝炎に対するDAA治療成績を明らかにし、治療効果における宿主及びウイルス要因を明らかにした。難治例に対する有効な治療法探索に繋がるものと期待できる。

○HBV感染抑制リガンドの解析を行い、初感染時に関わる受容体共役因子EGFRなどの感染制御宿主因子や、新規創薬シーズが同定された。さらに、数理解析を利用して、cccDNA形成に至るHBV生活環経路の制御メカニズムを明らかにした。

○A型及びE型肝炎の大規模かつ網羅的な臨床データの収集とそれに基づく感染防止、病態解明、起因ウイルスの遺伝的多様性に関する分析を行い、感染実態・動向を明らかにした。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑩健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発事業

期間実績評価

④エイズ及び肝炎対策に資する研究

＜概要＞

エイズ事業では、厚労科研と共同で行う成果報告会と、血友病の遺伝子治療に関する市民公開講座を開催した。肝炎事業では、進捗管理や公募課題設定に資する情報を収集するため、キックオフミーティングと研究進捗ヒアリングを開催した。班会議情報共有システムの改修を行い、PS/POのおこなう進捗管理の効率化や情報共有が円滑に行われるよう支援し、研究成果の創出につなげた。若手育成枠を設定し、エイズ・肝炎研究領域の人材育成を推進した。また、他部課との連携により、特許の出願支援や企業導出支援、他事業への橋渡し支援をおこなった。

＜エイズ対策に資する研究＞主な研究開発成果

○in vitroでLRAと既存の抗HIV薬の併用薬剤効果を評価できる系の樹立に成功した。本評価系は既存の抗HIV薬にLRAを併用することでウイルスの産生が抑制されるだけでなく、HIV潜伏感染細胞が効率的に除去されている過程を評価することができ、本評価系を用いて、複数のLRA活性を有する化合物の同定に成功した。

○ヒトのPIMキナーゼによってHIV-2タンパク質Vpxがリン酸化されることを発見した。また、PIM阻害剤によりHIV-2のリン酸化が抑制され、HIV-2の増殖が抑制されることを明らかにした。

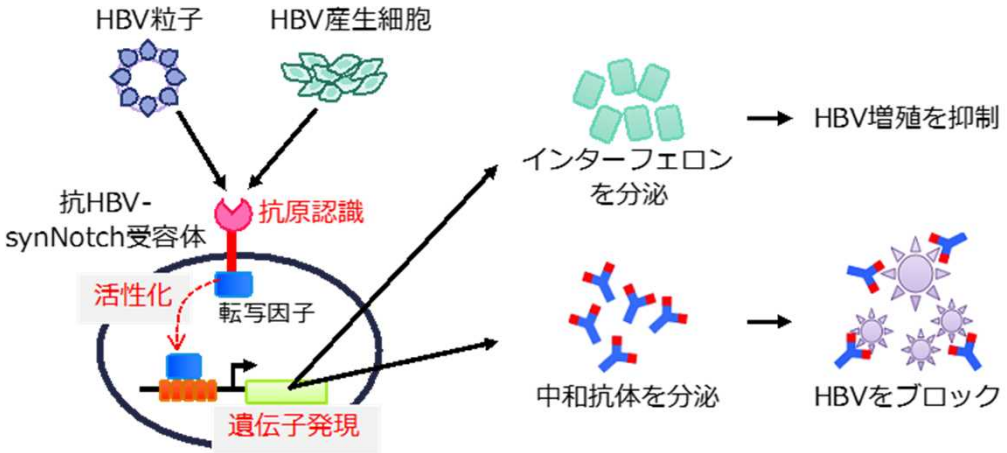
○CRISPR/Cas9とアデノ随伴ウイルスベクターを用いて、生後の血友病Bマウス（第IX因子欠損）の異常遺伝子の修復に成功。成果をCiCLE事業に橋渡しし、血友病Bに対する遺伝子治療用製品の研究開発に繋げた。

＜肝炎対策に資する研究＞主な研究開発成果

○合成Notch受容体の細胞内・外のドメインのカスタマイズにより、B型肝炎ウイルス（HBV）の表面抗原を検知して特異的に免疫応答を活性化できる、人工免疫細胞の樹立に成功した。（図）

○B型肝炎ウイルスの宿主細胞表面から細胞内部への侵入開始にはEGFRが重要な役割を果たすことが明らかになった。

○抗ウイルス療法によりHCVが排除された患者の血液検体・臨床情報をゲノムワイド関連解析法を用いて解析した結果、TLL1遺伝子内に存在する一塩基多型（SNP）が肝発癌に強く関連することを見出した。



（図）合成Notch(synNotch)受容体を用いたB型肝炎ウイルス（HBV）に対する人工免疫細胞（黒丸）とその機能

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑩健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発事業

期間評価

④障害者対策総合研究開発事業・身体知的等障害分野
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試用可能な経皮的ノイズ前庭電気刺激装置の開発

Pmda ← 全般相談・対面助言

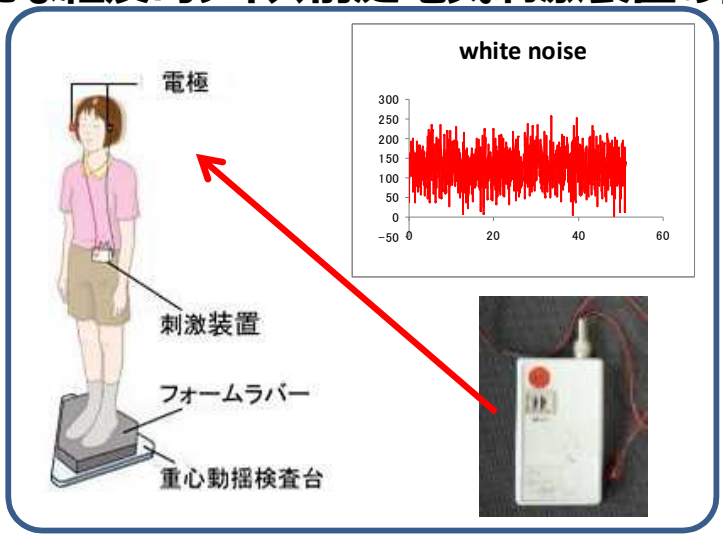
医師主導治験

東大病院 The University of Tokyo Hospital

NTT東日本 関東病院

臨床研究支援組織

東京大学医学部附属病院 臨床研究支援センター

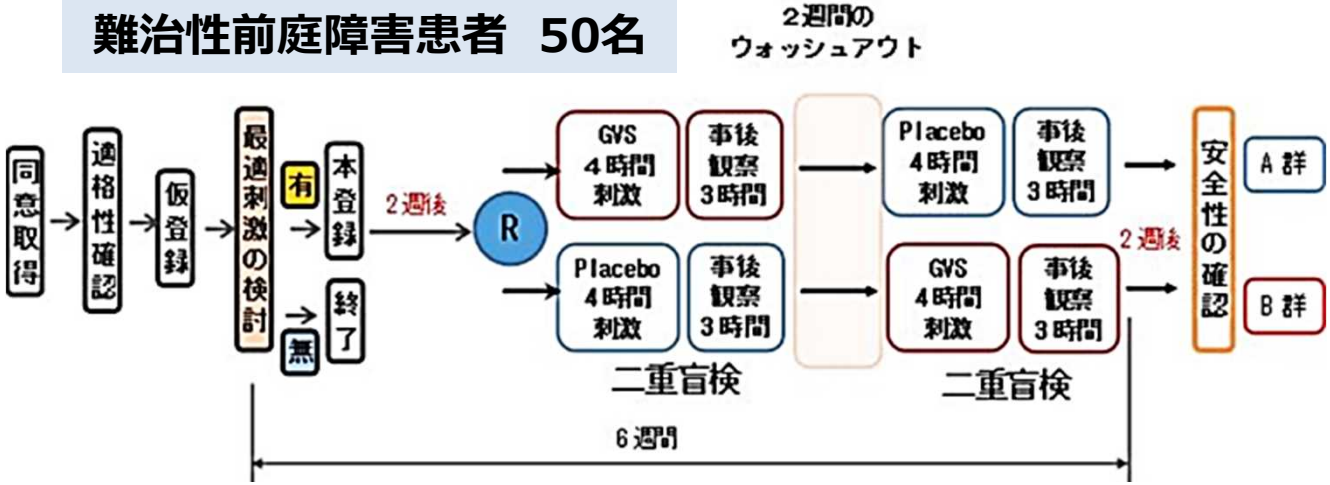


ノイズGVS：耳後部の皮膚に表面電極を貼付し、導線を通じて本品に接続して電気刺激を行う。刺激装置は乾電池で48時間駆動され、デジタルデータをDA変換器と電圧電流回路により出力する。

二重盲検ランダム化プラセボ対照クロスオーバー試験

スクリーニング　第Ⅰ期　第Ⅱ期　追跡調査

難治性前庭障害患者　50名



転倒リスク↓

改善

めまい 平衡障害

安全性

確認

実用化&医療機器承認

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑩健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発事業

期間実績評価

④障害者対策総合研究開発事業・身体知的等障害分野

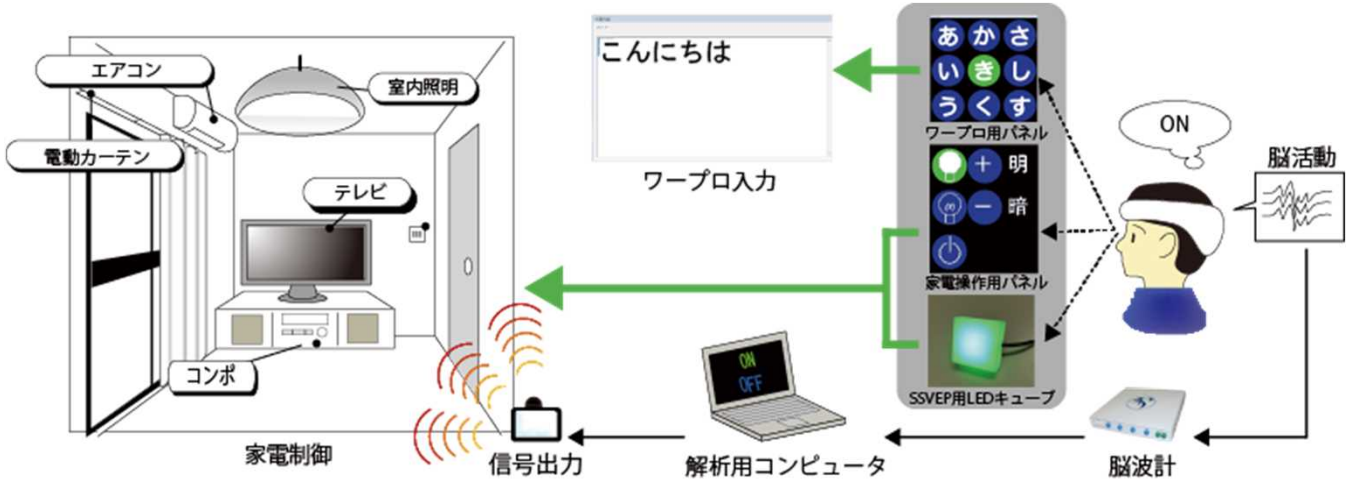
BMIによる障害者自立支援機器の実用化研究（平成28年度-平成30年度）

BMI型環境制御装置「B-assist」の障害・疾患横断的な有用性の検討（令和元年度-令和3年度）

- 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・実証評価研究を推進
- 現場の意見をフィードバックしてユーザーインターフェイスや個別の機能を開発
- 筋萎縮性側索硬化症(ALS)等によりコミュニケーションが困難な患者・障害者の自立・意思伝達を可能とするための研究開発
- ALSの評価指標(ALSFRS-R)で最重度の患者が70%以上の精度で長期間機器を使用可能



B-assist



BMIの利用イメージ

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑩健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発事業

期間実績評価

④老化メカニズムの解明・制御プロジェクト
技術支援・解析支援体制の構築（研究推進・支援拠点）

老化メカニズムの解明・制御プロジェクト　技術支援・解析支援体制

研究開発拠点
- 老化機構・制御研究拠点
- 個体・臓器老化研究拠点

申請（ホームページ）
事務局：研究推進・支援拠点

H29年度　解析支援実績（19件）
↓
H30年度　解析支援実績（48件）
↓
R01年度　解析支援実績（64件）

審査委員会

審査委員長：技術支援統括、
審査員：PS、担当PO、拠点長

革新的先端研究開発支援事業
AMED-CREST/PRIME（機能低下）

申請開始
↓ 申請
総括、副総括
↓ 審査
採択候補課題（案）の選定・決定*
↓
承諾通知

研究推進・支援拠点
(1) 加齢マウス供給申請支援　(2) 寿命解析支援　(3) 病理・病態解析支援　(4) 老化指標解析支援
(5) メタボローム解析支援　(6) 微細形態解析・イメージング解析支援　(7) ゲノム編集支援
(8) 生物情報解析・ビッグデータ支援

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑩健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発事業

④老化メカニズムの解明・制御プロジェクト

・肝臓の再生を促す仕組みを解明
（「個体・臓器老化研究拠点」 研究開発代表者：片桐　秀樹・東北大学大学院医学系研究科）

・皮膚の若さの維持と老化のメカニズムを解明
（「個体・臓器老化研究拠点」 研究開発分担者：西村　栄美・大阪大学微生物病研究所）

期間実績評価

個体レベルでの老化進展に関わる臓器連関機構の解明とその制御

（2017年度～ 「個体・臓器老化研究拠点」）

【片桐　秀樹　採択時～現在：東北大学大学院医学系研究科　教授】

（成果の概要・インパクト）

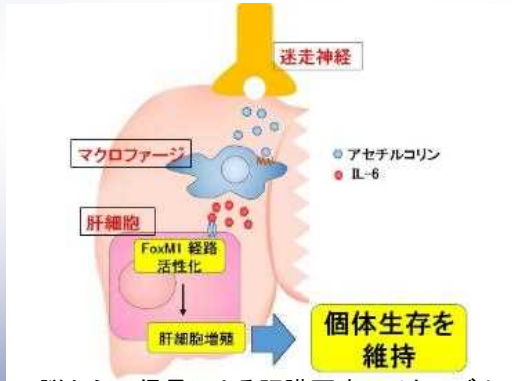
・肝臓傷害時に脳からの自律神経による信号が緊急的な肝臓再生を促進するメカニズムを解明。

・自律神経の一種である迷走神経が肝臓内の免疫細胞（マクロファージ）を刺激し、肝臓再生を促進するメカニズムを解明。

・神経細胞を活性化することで重傷肝臓障害の生存率を回復させることに成功。

・肝臓再生の新たな仕組みの解明とともに、老化のメカニズムの解明につながることが期待。

・本成果は2018年12月に「Nature Communications」に掲載。



脳からの信号による肝臓再生のメカニズム

令和元年度評価

血管老化の分子機構の解明とその制御

（2017年度～ 「個体・臓器老化研究拠点」）

【西村　栄美　採択時～現在：東京医科歯科大学難治疾患研究所　教授】

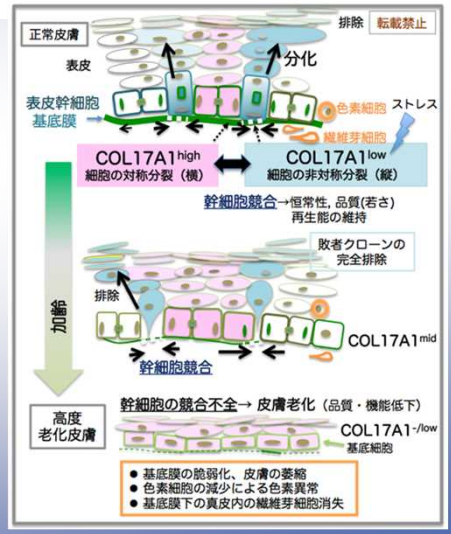
（成果の概要・インパクト）

・表皮幹細胞が隣接する幹細胞との間で細胞競合を行うことによって皮膚の質（若さ）と恒常性を維持していることを発見した。

・加齢によって表皮幹細胞のXVⅡ型コラーゲン（COL17A1）を介した細胞競合が減弱すると皮膚の老化が起きることを明らかにした。

・幹細胞競合の制御による抗老化、再生、加齢関連疾患の予防や治療への道が開かれました。

・本成果は2019年4月に「Nature」に掲載。



Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑩健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発事業

期間実績評価

④老化メカニズムの解明・制御プロジェクト

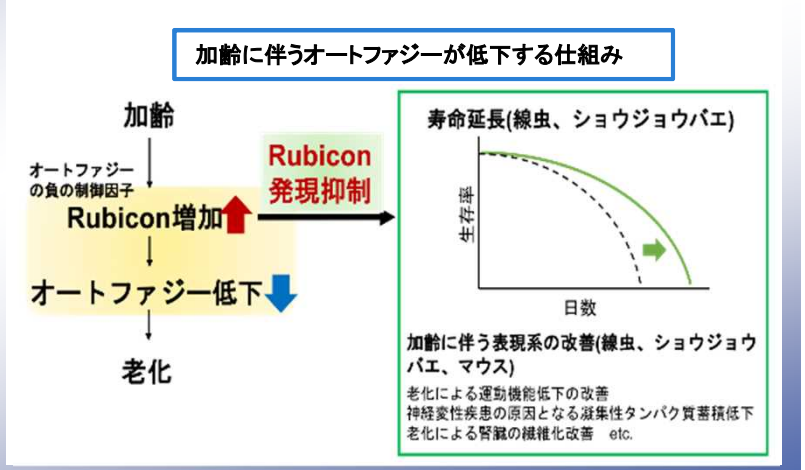
・オートファジー制御による老化機構を解明
（「老化機構・制御研究拠点」 研究開発分担者：吉森　保・大阪大学大学院医学系研究科）

・遺伝子のスイッチ役を「見える化」
（「老化研究推進・支援拠点」 研究開発分担者：沖 真弥・九州大学大学院医学研究院）

オートファジーによる寿命延長機構の解明

（2017年度～老化機構・制御研究拠点）
【吉森　保　採択時～現在：大阪大学大学院医学系研究科　教授】

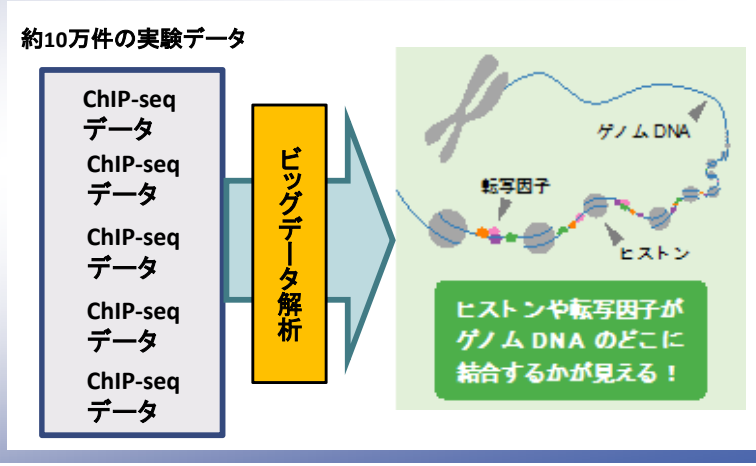
（成果の概要・インパクト）
・加齢に伴いオートファジーが低下する現象のメカニズムを解明。
・オートファジーを抑制する因子であるルビコンが加齢に伴い、増加することを発見。
・ルビコンを抑制し、オートファジーを活発化させることで老化現象の改善や寿命が延伸することを見出し、神経変性疾患の原因となるタンパク質の蓄積や腎臓の繊維化が軽減する現象を発見。
・ルビコンの抑制機構の解明により寿命延伸や老化現象の改善のための創薬開発へ期待。
・本成果は2019年2月に「Nature Communications」に掲載。



ゲノム情報の機能的アノテーション

（2017年度～老化研究推進・支援拠点）
【沖 真弥　採択時～現在：九州大学大学院 医学研究院　助教】

（成果の概要・インパクト）
・世界中から報告された約10万件のChIP-seqビッグデータを全て収集し、スーパーコンピューターで統合解析し、「見える化」したWebサービスを開発。
・ヒストンや転写因子がゲノムDNAに結合する位置情報を全て可視化することに成功。
・組織や臓器を形成する司令塔となるタンパク質の探索に応用。
・ビッグデータを高次解析し、転写因子を予測することで再生医療への応用に期待。
・本成果は2018年11月に「EMBO Reports」に掲載。



Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施⑩
健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発事業

令和元年度評価

⑤－１産学連携医療イノベーション創出プログラム（ACT-M）

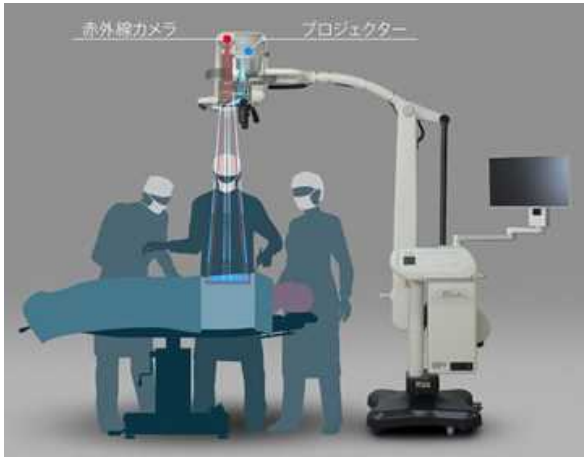
基本スキーム（ACT-M）・セットアップスキーム（ACT-MS）の公募を行い、それぞれ8件・6件を採択し、継続課題と共に医療イノベーション創出に向けて研究開発を推進。研究開発の進捗状況を把握し助言を行うため、評価委員が参加する進捗報告会や、POに加えて推進アドバイザーがサイトビジットに参加し、実用化に向け必要に応じて研究開発計画の見直しを行った。また、昨年に引き続き、成果発表会も実施した他、終了課題のうち、京都大学の成果を元にした製品がクラスⅡの製造販売承認を取得した。

＜主な取組＞

・推進アドバイザー：ACT-Mについては、POに加え、各研究開発課題の専門に近い有識者を推進アドバイザーとして委嘱し、サイトビジットや進捗報告会に参加いただいた。こうしたサイトビジット等の機会で、POや評価委員、推進アドバイザーの助言により研究開発の見直しを適切に実施し、事後評価において高い評価を得る等、研究開発推進の改善に努めた。

＜主な成果＞

・終了課題が製造販売承認を取得：平成27年度に採択された研究開発課題「プロジェクションマッピングによる近赤外画像の可視化とリアルタイムナビゲーションによる手術システムの開発」の研究成果に基づき、三鷹光器株式会社、京都大学、パナソニック株式会社がプロジェクションマッピングの技術を応用した手術支援システム「Medical Imaging Projection System： MIPS(ミップス)」を開発した。MIPSは、医薬品医療機器等法に基づき、2019年11月20日に「一般名称：ICG蛍光観察装置」としてクラスⅡ医療機器の製造販売承認を取得した。今後、まずは国内での販売が予定されている。



開発した手術ガイドシステム：プロジェクションマッピングの投影遅延時間は0.2秒以内、投影のズレは±2㎜以下。術者は、プロジェクションマッピングによる今までにない直観的なリアルタイムガイドと状況に応じて、自在に装置を的確に患部に向けることが出来るアームシステムを使用することにより、迷わず正確に、より安全な手術が可能。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施⑩
健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発事業

令和元年度評価

⑤－２　研究成果最適展開支援プログラム（A-STEP）

JSTから移管された本事業にて、産学連携体制による実用化に向けた研究開発を支援。継続中の4課題のうち3課題は、外部評価委員による事後評価等を実施した。これにより、JSTから移管したA-STEP88課題のうち87課題が終了した。

＜主な成果＞

・製造販売承認：ステラファーマ株式会社は、A-STEPの開発課題「ホウ素中性子捕捉療法に用いるホウ素薬剤」の成果に基づいた、ホウ素中性子捕捉療法（ Boron Neutron Capture Therapy、以下 BNCT、右図）用ホウ素薬剤「ステボロニン®点滴静注バッグ9000 mg/300 mL」（一般名：ボロファラン（^{10}B））について、2020年3月25日に「切除不能な局所進行又は局所再発の頭頸部癌」を効能・効果として製造販売承認を取得した。

頭頸部癌とは、頭蓋底から鎖骨までの範囲（耳、鼻、口、あご、喉など）にできる癌である。頭頸部の各臓器は日常生活に欠かせない重要な機能を担っているため、頭頸部癌に対しては、治療による癌の制御だけでなく、治療後の機能障害を最小限に抑えられる治療法の確立が求められていた。BNCT は、正常細胞への影響が少なく、癌細胞をピンポイントに死滅させる治療法であり、周辺の組織・機能を温存しつつ、癌を制御することが期待できる。

本製剤の開発においては、2017年4月には厚生労働省より「先駆け審査指定制度」の対象品目に指定されるなど、大阪府立大学とともに産学連携で開発を進めてきた。

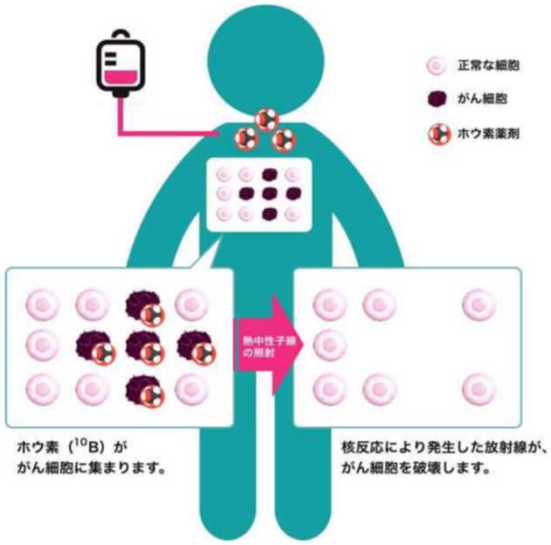


図1. ホウ素中性子捕捉療法（BNCT）は、放射線治療の一種。患者さんにホウ素薬剤を投与することで、ホウ素（^{10}B）ががん細胞に集まる。患部に体外から照射する中性子線は、非常にエネルギーが小さく、人体への影響はほとんどない一方、ホウ素（^{10}B）とぶつかると核反応を起こし、放射線が発生する。BNCTは、この放射線でがん細胞を破壊する治療法。（図はステラファーマ株式会社提供）

・医工事業化推進事業にて採択： A-STEP 起業挑戦タイプにて支援した研究開発課題に関する九州大学の成果を元に設立された企業「株式会社メグウェル」は、今年度にAMED・医工連携事業化推進事業に帝人ファーマ株式会社等と申請し、採択された。 A-STEPによる起業準備、研究開発の支援後、関連課題がAMED・ACT-Mによる研究開発支援も受け、ベンチャーとしての基盤を固め、今回採択された医工事業化推進事業では事業化に向けた開発を推進する。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施⑩
健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発事業

期間評価

⑤－１産学連携医療イノベーション創出プログラム（ACT-M）

基本スキーム（ACT-M）は平成27年度から、セットアップスキーム（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83課題（ACT-M 41課題、ACT-MS 42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。

＜主な成果＞

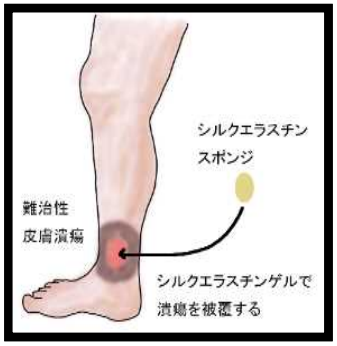
・CiCLEへの移行課題

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、第4回公募においても、ACT-M、ACT-MSの継続研究が採択され、計3件の橋渡しが実現した。

・医師主導治験の開始事例

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」については、平成30年2月から12月まで医師主導治験を実施し、本課題で開発した材料の安全性が確認された。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。

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。



ゲル化したシルクエラスチンは、傷に密着して創傷治癒を促進

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施⑩
健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発事業

期間評価

⑤－２　研究成果最適展開支援プログラム（A-STEP）

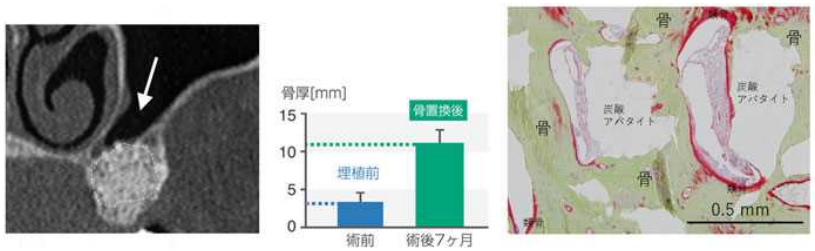
JSTから移管された本事業の88課題について、産学連携体制による実用化に向けた研究開発を支援。POや外部評価委員によるサイトビジット、終了課題については事後評価とともに、リーフレットにて成果の普及に努めた。

＜主な成果＞

・薬事承認、販売：（株）ジーシーは、A-STEPの研究開発成果に基づき、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」を開発し、薬事承認（平成28年12月14日）され、歯科医師向けに販売している。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（下図）。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。

・製造販売承認申請：富士ソフト・ティッシュエンジニアリング(株)は、平成30年6月に、A-STEP 委託開発「先天性顔面疾患に用いるインプラント型再生軟骨」（富士ソフト（株））の成果をもとに、患者から採取した軟骨を培養して鼻の治療に使う再生医療製品について製造販売承認申請を提出した。

・以上の他に、本プログラムではこれまで計22課題において、臨床試験もしくは治験を実施している。



治験症例（術後7ヵ月）のCT画像（前頭断）（左図）。材料の骨置換が進んでいる。治験患者の術前と術後7ヵ月の骨の厚さの平均値推移グラフ（中図）。炭酸アパタイト顆粒を用いることで骨の薄かった部位（術前：3.4 mm）が厚くなり（術後7カ月：10. 5 mm）、歯科用インプラント埋入が可能となった。術後8ヵ月の骨生検の病理組織像（右図）。炭酸アパタイト顆粒（白色）の周囲に隙間なく新しくできた骨（緑色）や類骨（赤色）が形成されていることを確認。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑩健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発事業

令和元年度評価

期間実績評価

評価軸

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

■ 平成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。

評価軸

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

■ 平成27年度において当事業を承継するにあたり、移管元のJST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。
■ 平成27年度から令和元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。
■ 国際水準の事前評価を行うため、AMED-CRESTにおいて国際レビューアの導入を平成29年度より検討。平成30年度は試行的に公募3領域中1領域へ導入し、令和元年度は2領域に拡充。さらに、令和2年度採択に向けた公募（令和2年3月24日開始）は全3領域へ適用した。これらを通じレビューアの探索から依頼までの仕組みを構築、AMED全体への導入へ繋がるモデルケースとなった。
■ 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、新たな仕組みで令和元年度公募を行った。結果、提案数は平成30年度12課題から令和元年度19課題と増加した。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑩健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発事業

令和元年度評価
期間実績評価

AMED

■ 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支援を行い、研究者向けのヒト試料利活用のための手引き書（令和元年度末完成予定：仮称）を作成した。
■ 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年度から平成30年度にかけて「ステップタイプ（FORCE）」を設計し、令和元年度より採択を実施した。
■ 令和元年度新規発足領域（健康・医療の向上に向けた早期ライフステージにおける生命現象の解明）については、「成育疾患克服等総合研究事業」との事業間連携を目的に、両事業のPSPO間での情報共有を行った。

評価軸

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

■ パーソナル・ヘルス・レコード（**PHR**）利活用研究事業は平成**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。
■ **AI**を活用した保健指導システム研究推進事業は平成**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。
■ **IoT**等活用生活習慣病行動変容研究事業においては、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。
■ 標準的医療情報収集システム開発・利活用研究事業においては、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。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑩健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発事業

令和元年度評価
期間実績評価

評価軸	患者や社会のニーズ、医療上及び経済上のニーズをも十分に意識しつつ、予防、治療、生活の質の向上を目指す研究開発を推進したか。

- ■ 小児・周産期の疾患（成育疾患克服等総合研究事業）については、各年度において、推進中の研究開発課題について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。
- ■ 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。
- ■ 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。
- ■ 一般に、妊娠期や小児期に関わる研究開発は、そのリスクや特有の問題から他の分野に比して企業や民間主導では進みにくいという背景を踏まえ、令和元年度に臨床研究推進のための支援・連携体制基盤構築に着手。臨床研究治験現場における共通の課題を抽出しつつ、コホート研究とも連携し、継続的な研究課題の抽出と、介入ポイントの発見、発達障害の発見、介入や思春期の心身の問題の早期発見、診断に関わる医学的エビデンスの創出に資する研究を推進している。今後も引き続き、これまで基盤整備を行って来た周産期臨床研究やデータベースの連携を基盤とし、より発展的に課題を推進する。
- ■ 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。
- ■ 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。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑩健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発事業

令和元年度評価
期間実績評価

評価軸 患者や社会のニーズ、医療上及び経済上のニーズをも十分に意識しつつ、予防、治療、生活の質の向上を目指す研究開発を推進したか。

- 循環器・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業では、心不全患者の予後や治療応答性に関与するマーカー、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。
- 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同定し、創薬に向けた研究開発を進めるなど、複数の成果を得た。

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

- 老化メカニズムの解明・制御プロジェクトでは、「研究推進・支援拠点」において、事業開始（平成29年10月）から系統的飼育をした加齢マウスの供給支援をはじめ、9種類の解析支援体制を構築し、プロジェクト内の研究開発拠点への解析支援を開始した。平成29年度は、19件、平成30年度は、48件を実施し、研究開発拠点の研究を促進に貢献した。令和元年度は、当初計画を大きく上回る64件を実施し、さらに、AMED内で事業連携をしているAMED-CREST/PRIME「機能低下」領域にも24ヵ月齢の加齢マウス　8件（約170匹）の供給支援を開始した。「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が増加し、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。令和元年度、特筆すべき研究成果として、幹細胞競合による恒常性維持機構の疲弊による皮膚の老化メカニズムの解明（個体・臓器老化研究拠点・東京医科歯科大学）やミトコンドリア動態による臓器老化の抑制機構の解明（個体・臓器老化研究拠点・東京薬科大学）、また老化臨界期を決める体内機構の解明（老化機構・制御研究拠点・東京大学）等の研究成果が著名な論文雑誌に掲載された。
- 社会還元活動の一環として、令和元年度に市民公開講座を開催（熊本県）し、高校生や専門学生、高齢者など約100名が参加した。
- 老化関連研究機関との連携を目的として、平成30年度、令和元年度において長寿医療研究センターや東京都健康長寿医療センター等と意見交換会議を開催した。
- 令和元年度に実施された、文部科学省ライフサイエンス委員会基礎・横断研究戦略作業部会の当該事業の中間評価において、高い評価を得ることができた。

Ⅰ(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施
⑩健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発事業

令和元年度評価
期間実績評価

評価軸	患者や社会のニーズ、医療上及び経済上のニーズをも十分に意識しつつ、予防、治療、生活の質の向上を目指す研究開発を推進したか。

- 肝炎及びエイズ事業では、in vivoモデルを用いた構造活性相関の研究及びウイルス感染時の免疫系の解析に取り組み、QOLの向上につながる治療薬候補の合成や免疫系による根治療法の可能性を示した。
- HIV感染症に対するワクチンは、現在、存在していないため社会的ニーズが高い。ワクチン抗原を最適化した抗体誘導型ワクチンの開発を加速し、HIV感染予防、治療に向けた取り組みを推進した。
- 肝炎ウイルスの増殖過程及び関与する宿主因子の解析、免疫応答の解析などを中心に、基盤研究から臨床応用に向けて総合的に推進した。

Ⅱ(1)業務運営の効率化に関する事項
①組織・人員体制の整備

令和元年度評価

評定 （自己評価）	
B	①AMEDの職員体制の強化のため、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年度にAMEDとしての無期転換制度を策定し、令和元年度において、無期転換制度の運用を開始した。また、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）の運営を行った。②PDPSPO等について利益相反マネジメントルールを適切に運用して、専門人材の登用・確保を行う等の取組を行った。③AMEDの第2期中長期計画に向けて、疾患を限定しないモダリティ等の6つの統合プロジェクトに再編し、新たな医療技術等を様々な疾患に横断的に展開するための体制の構築、ガバナンス強化など組織の見直しを行った。以上から目標を達成していると認められる。

①AMEDの職員体制の強化

改正労働契約法の施行により、有期労働契約が5年を超えて更新された場合に、雇用期間の定めのない無期転換ルールが制度化された。AMED設立年度に採用された多くの任期制職員等が令和元年度に更新上限を迎えることを踏まえ、平成30年9月に無期転換制度を策定し、令和元年度において、無期転換制度の運用を開始した。

また、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）の認定を行った。

②PD/PS/PO等の専門人材の登用・確保

②-1　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・官・学の各分野から厳正に人選し、PD/PS/POに登用した。

②-2　利益相反の防止について、PD/PS/POや評価委員について整備した利益相反マネジメントルールを適切に運用するとともに、PD/PS/PO、評価委員の一覧をHPに公表して透明性に配慮し、外部人材の登用を行った。

③AMEDの中長期計画（第Ⅱ期）に向けた組織の見直し

・当機構に求められる機能、
  - 医療に関する研究開発マネジメントの実現
  - 実用化に向けた支援（知的財産のマネジメントへの取組を含む）の推進
  - 研究開発の基盤の整備
  - 国際戦略の推進
  - 産学官連携等の取組の推進

  などを発揮するための体制の構築等を推進。

・基礎から実用化まで切れ目ない研究開発支援を一体的に行うとともに、健康・医療戦略、医療分野研究開発推進計画に基づき、モダリティ等による６つの統合プロジェクトに再編し、新たな医療技術等を様々な疾患に横断的に展開する体制を構築。

・内部統制等のトップマネジメント機能を強化する体制を構築。

Ⅱ(1)業務運営の効率化に関する事項
①組織・人員体制の整備

評定(自己評価)
B

AMEDが果たすべき機能を十分に発揮するため様々な組織見直しを行った。また、AMEDの職員体制の強化のため、プロパー職員制度を導入し、今後のAMEDの根幹を担う人材を採用した。
平成30年度に無期転換制度を策定し、令和元年度に運用を開始した。
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)の運営を継続的に行った。
PDPSPO等について利益相反マネジメントルールを適切に運用して、専門人材の登用・確保を行う等の取組を実施した。
AMEDの第2期中長期計画に向けて、疾患を限定しないモダリティ等の6つの統合プロジェクトに再編し、新たな医療技術等を様々な疾患に横断的に展開するための体制の構築、ガバナンス強化など組織の見直しを行った。
以上から目標を達成していると認められる。

期間実績評価

	H27	H28	H29	H30	R1	見込	期間
自己評価	B	B	A	B	B	B	B
主務大臣評価	B	B	B	B		B	

AMEDの機能強化のための組織改編等

「革新基盤創成事業部」の整備(平成29年4月)
政府出資金(平成28年度補正予算550億円)を活用した医療研究開発革新基盤創成事業(CiCLE)を的確に実施する体制を構築するため、「革新基盤創成事業部」を新設。同事業を推進する体制を増員して整備。

「基盤研究事業部」の整備(平成29年4月)
基盤研究の関係課を集約し、基盤研究を横割りで担う「基盤研究事業部」を整備。

「創薬戦略部」の整備(平成29年7月)
「オールジャパンでの医薬品創出」プロジェクトの関係課室の集約・一体化を図るとともに、同プロジェクトと他のAMED事業との連携を進め、AMED全体の創薬シーズの横断的評価や戦略立案を行う体制を構築するため、「創薬戦略部」を整備。オールAMEDでの革新的医薬品開発の更なる加速を推進。

「事業統括室」の整備(平成30年2月)
統合プロジェクト等の事業間における横断的事項の企画立案及び調整に関する機能を強化するため、統括役の下に「事業統括室」を設置。国際レビューア導入へ支援・推進等の事業横断的業務を開始。

AMEDの職員体制の強化
プロパー職員制度を導入し、今後のAMEDの根幹を担う人材を採用した。
無期転換制度の策定し運用を開始した。
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)の運営を行った。

PD/PS/PO等の専門人材の登用・確保
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・官・学の各分野から厳正に人選し、PD/PS/POに登用した。
利益相反の防止について、PD/PS/POや評価委員について整備した利益相反マネジメントルールを適切に運用するとともに、PD/PS/PO、評価委員の一覧をHPに公表して透明性に配慮し、外部人材の登用を実施。

AMEDの中長期計画(第Ⅱ期)に向けた組織の見直し
・当機構に求められる機能、
  - 医療に関する研究開発マネジメントの実現
  - 実用化に向けた支援(知的財産のマネジメントへの取組を含む)の推進
  - 研究開発の基盤の整備
  - 国際戦略の推進
  - 産学官連携等の取組の推進

  などを発揮するための体制の構築等を推進。
・基礎から実用化まで切れ目ない研究開発支援を一体的に行うとともに、健康・医療戦略、医療分野研究開発推進計画に基づき、モダリティ等による６つの統合プロジェクトに再編し、新たな医療技術等を様々な疾患に横断的に展開する体制を構築。
・内部統制等のトップマネジメント機能を強化する体制を構築。

Ⅱ(1)業務運営の効率化に関する事項
①組織・人員体制の整備

令和元年度評価

① AMEDの職員体制の強化

- 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年度にAMEDとしての無期転換制度を策定し、令和元年度において、無期転換制度の運用を開始。

- 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）の認定を行った。

② PD/PS/PO等の専門人材の登用・確保

②-1　優れた学識経験や研究開発の実績等を有する専門家を産・官・学の各分野から厳正に人選し、PD/PS/POに登用

②-2　利益相反の防止について、PD/PS/POや評価委員について整備した利益相反マネジメントルールを適切に運用するとともに、PD/PS/PO、評価委員の一覧をHPに公表して透明性に配慮を行った。



評価・運営体制

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）として配置しています。PD、PS、POは協力して、連携分野全体の課題を把握し、担当する連携分野の運営や分野間の協力の推進等の高度な専門的調整を行うとともに、優れた研究開発提案の評価・発掘や基礎研究の成果を臨床研究・実用化につなげる一貫した運営を行います。

- PD一覧 PDF
- PS、PO一覧 PDF

研究開発課題の評価は、外部有識者により構成される課題評価委員会で実施します。
評価には、公募に応じて提出された研究開発提案書の中から機構が支援する研究開発課題を選定するための事前評価や、機構が支援した研究開発課題の進捗状況を評価する中間評価・事後評価があります。

機構では、医療分野の研究開発において期待されている役割を最大限に発揮するため、研究開発課題の評価・運営体制の充実に取り組んでいます。
今般、課題評価委員会やPD、PS、POの課題運営における一層の質の向上及び透明性・公正性の確保のため、関係規則等の改正・整備を行い、評価委員やPD、PS、POの利益相反マネジメントルールの整備等をしました（平成28年10月）。
さらに、課題評価においては、10段階の共通評価手法を導入し、平成29年4月から原則各事業で実施します。

- AMEDにおける課題評価 PDF
- AMED課題評価委員一覧 PDF

https://www.amed.go.jp/aboutus/hyouka_unei.html

Ⅱ(1)業務運営の効率化に関する事項
①組織・人員体制の整備

期間実績評価

AMEDの機能強化のための組織改編等

組織改編

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

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

・平成30年2月、統括役の業務に属する事業に係る横断的事項の企画立案及び調整に関することのうち、国際レビューア導入支援など統括役が指示した業務を行う事業統括室を設置。

AMED職員体制の強化

・ 内部公募による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）の制度を実施し、職員体制を強化。

・ 改正労働契約法の施行により、有期労働契約が5年を超えて更新された場合、雇用期間の定めのない無期転換ルールが制度化された。これに伴い、AMEDは平静30年9月に無期転換制度を策定し、令和元年度において、無期転換制度の運用を開始した。

・ 研究者等からの該当事業等についての相談に更に丁寧かつ的確に応えるため、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）」をウェブサイトに開設（平成30年2月）。

Ⅱ(1)業務運営の効率化に関する事項
①組織・人員体制の整備

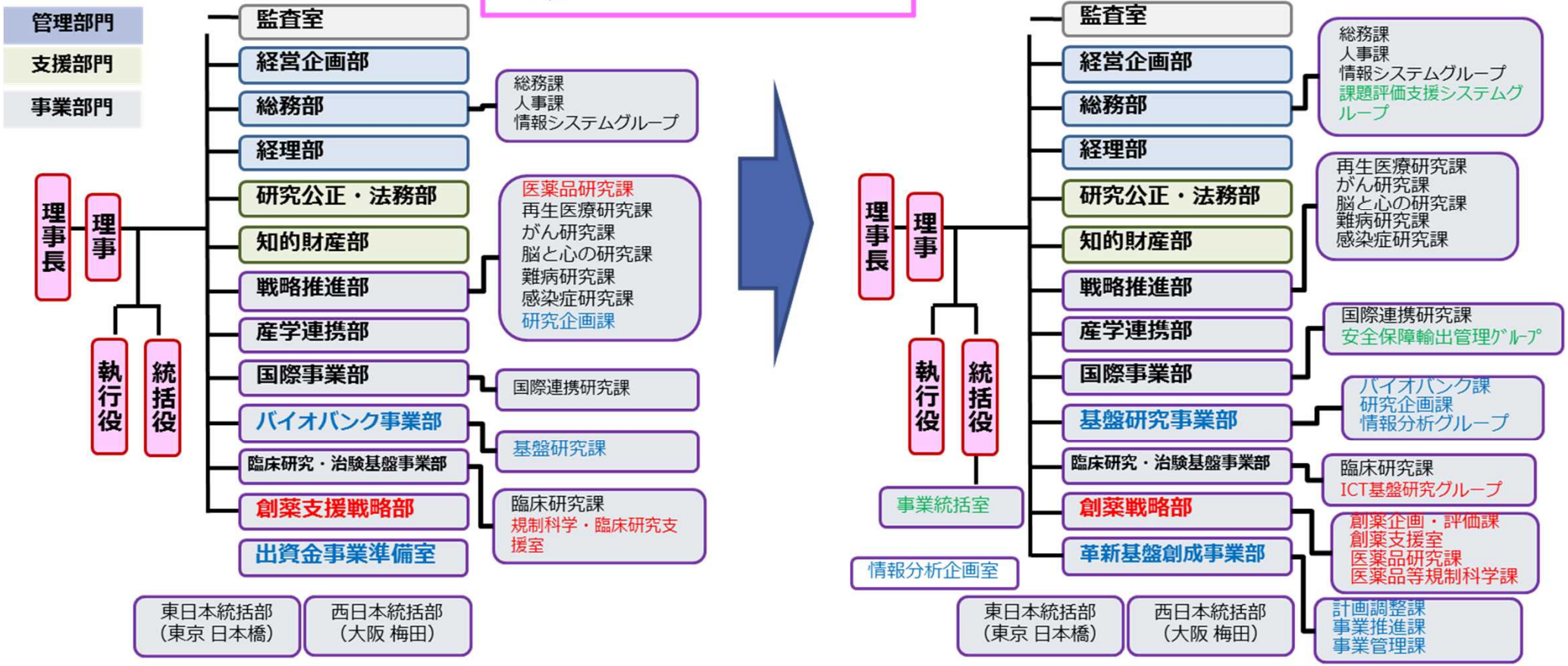
期間実績評価

AMEDの機能強化のための組織改編等

平成29年4月の組織改編（青字部分）
- ○ 基盤研究の関係課を集約し、基盤研究を横割りで担う基盤研究事業部を整備。
- ○ 医療研究開発革新基盤創成事業（CiCLE）を担う革新基盤創成事業部を新設。
- ○ AMS＊を構築し、エビデンスベースの事業企画、事業マネジメント、施策提案等の機能を目指すため、機構横断的な組織として、情報分析企画室 （統括役が室長）を設置。*AMS:AMED研究開発マネジメントシステム

平成29年7月の組織改編（赤字部分）
- ○ 「オールジャパンでの医薬品創出」プロジェクトの関係課室の集約・一体化を図るとともに、同プロジェクトと他のAMED事業との連携を進め、AMED全体の創薬シーズの横断的評価や戦略立案を行う体制を構築するため、創薬戦略部を整備。
- ○ ICT、AIの基盤整備を担うICT基盤研究グループを臨床研究・治験基盤事業部に設置。

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



Ⅱ(1)業務運営の効率化に関する事項
①組織・人員体制の整備

令和元年度評価　期間実績評価

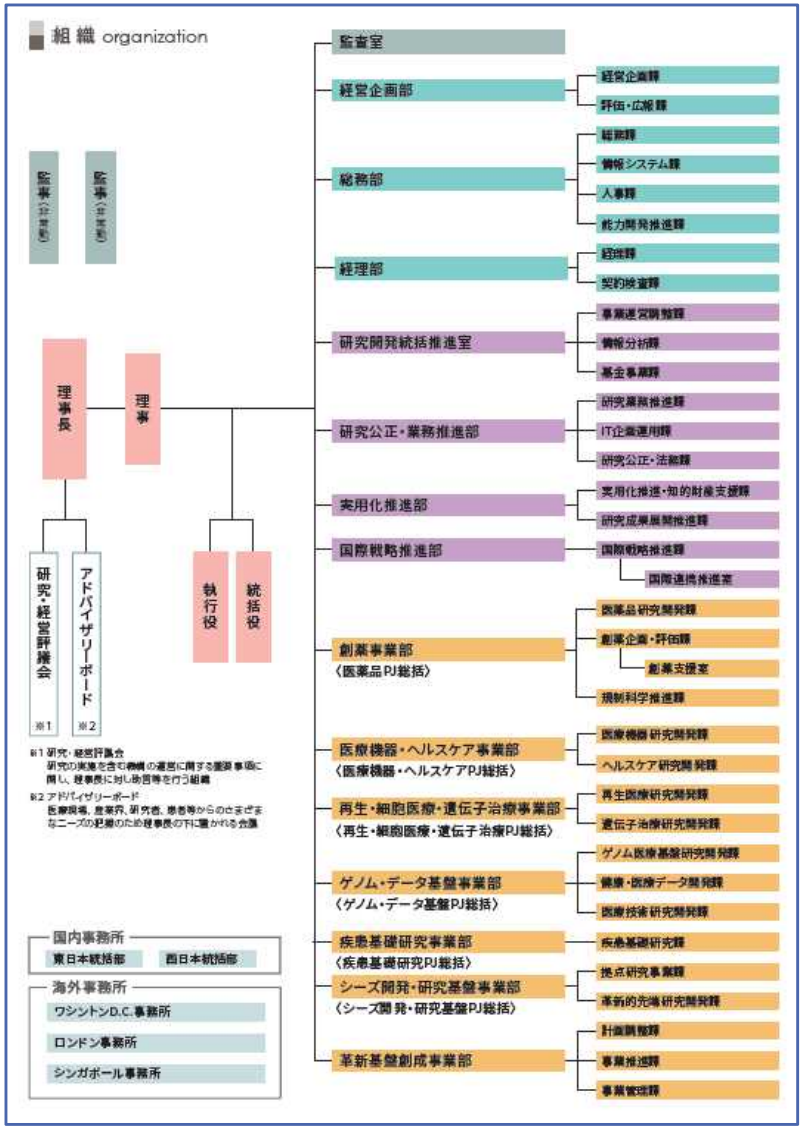
日本医療研究開発機構の中長期計画(第Ⅱ期)に向けた組織の見直しの主な内容

- 当機構に求められる機能、
  - 医療に関する研究開発マネジメントの実現
  - 実用化に向けた支援(知的財産のマネジメントへの取組を含む)の推進
  - 研究開発の基盤の整備
  - 国際戦略の推進
  - 産学官連携等の取組の推進

  などを発揮するための体制の構築等を推進。

- 基礎から実用化まで切れ目ない研究開発支援を一体的に行うとともに、健康・医療戦略、医療分野研究開発推進計画に基づき、モダリティ等による６つの統合プロジェクトに再編し、新たな医療技術等を様々な疾患に横断的に展開する体制を構築。

- 内部統制等のトップマネジメント機能を強化する体制の構築



Ⅱ(1)業務運営の効率化に関する事項
①組織・人員体制の整備

令和元年度評価　期間実績評価

②-1　PD,PS,PO等の産学官からの登用
②-2　利益相反・透明性に配慮した外部人材の登用

（基本理念）
- 優れた学識経験や研究開発の実績等を有する専門家を産・官・学の各分野から厳正に人選し、PD/PS/POに登用
- 機構の行う課題管理について、最先端の科学及びその社会的意義を熟知した者がPD、PS、及びPOとして参画することの重要性並びに課題管理の公正性及び透明性を担保し、国民からの懸念を生じることのないよう対応することの重要性に鑑み、PD、PS及びPOの利益相反の予防的マネジメントを行う。
- 個々のPD、PS及びPOの利益相反マネジメントの判断に当たっては、課題管理における科学的妥当性の確保と公正性・透明性の担保との両立を考慮するものとする。

Ⅱ(1)業務運営の効率化に関する事項
①組織・人員体制の整備

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

令和元年度評価　　期間実績評価

- 「オールジャパンでの医薬品創出」プロジェクトの推進体制を整備するため、民間リソースの活用による支援機能の強化や、関係課室の集約・一本化を図るとともに、同プロジェクトと他のAMED事業との連携を進め、AMED全体の創薬シーズの横断的評価や戦略立案を行う体制を構築し、創薬シーズの発掘・支援を促進することにより、オールAMEDでの革新的医薬品開発の更なる加速を目指して、「創薬戦略部」を整備する組織改編を行った。（平成29年7月）
- 今後の進展が見込めるICT、AIの基盤整備を行う部署として、臨床研究・治験基盤事業部臨床研究課に「ICT基盤研究グループ」を設置し、AMEDにおける組織的な受け皿を構築した。（平成29年7月）
- 基盤研究の関係課を集約し、基盤研究を横割りで担う「基盤研究事業部」を整備した。（平成29年4月）
- AMS（AMED研究開発マネジメントシステム）を構築し、エビデンスベースの事業企画、事業マネジメント、施策提案等の機能を目指すため、機構横断的な組織として、「情報分析企画室」（統括役が室長）を設置した。（平成29年4月）
- 医療研究開発革新基盤創成事業（CiCLE）を本格的に稼働させるため、「出資金事業準備室」から「革新基盤創成事業部」へ組織を増員して改組した。（平成29年4月）
- 統合プロジェクト等の事業間における横断的事項の企画立案及び調整に関する機能を強化するため、統括役の下に「事業統括室」を設置。国際レビューア導入へ支援・推進等の事業横断的業務を開始した。（平成30年2月）
- AMEDが役割を継続的に果たしていくため、プロパー職員制度を導入し、優れた人材の確保に努めた。14名をプロパー職員として任用。
- 改正労働契約法の施行により、有期労働契約が5年を超えて更新された場合、雇用期間の定めのない無期転換ルールが制度化された。これに伴い、AMEDは平静30年9月に無期転換制度を策定し、令和元年度において、無期転換制度の運用を開始した。
- 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）の運営を行った。

Ⅱ(1)業務運営の効率化に関する事項
①組織・人員体制の整備

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

令和元年度評価　　期間実績評価

- PD/PS/POは、機構に求められる機能である優れた基礎研究の成果を臨床研究・産業化につなげる一貫した研究開発マネジメントの中心的な役割として、優れた学識経験や研究開発の実績等を有し、研究開発課題の評価及び業務運営に関して見識を有する専門家を産・学・官の各分野から厳正に人選し、登用した。

評価軸	利益相反の防止や透明性の確保にも配慮しつつ、外部人材を登用したか。

令和元年度評価　　期間実績評価

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

Ⅱ(1)業務運営の効率化に関する事項
②PDCAサイクルの徹底

令和元年度評価

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

①年度計画に沿った進捗状況の把握と評価

①-1「業務と予算に関する会議」

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

①-2 自己評価委員会及び外部評価委員会

- 平成30年度の業務実績及び第一期中長期目標期間に見込まれる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。

②研究成果に係る中間・事後評価の実施

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

③医療分野研究開発速度の最大化に資する進捗管理

- 課題の進捗管理については実用化を見据えた目標設定やスケジュール管理を実施。
- PD・PS・POによるマネジメントのもと、各事業において、評価委員会や領域会議、班会議、サイトビジット、PS・PO会議等を通じて各研究課題の進捗管理、指導・助言、課題間連携の推進、研究方針の修正等のプロジェクトマネジメントを行った。また、PD・PS・POについて整備した利益相反マネジメントルールを適切に運用した。

(例1)革新的医療技術創出拠点プロジェクトにおける全ての拠点間の連携推進のため、全体会議を開催し、拠点における好事例の共有や重要課題の確認、協議等を実施。

(例2)革新的がん医療実用化研究事業においてサポート機関を設定し、次世代がん医療創生研究事業のサポート機関とともに、基礎研究から実用化までの一気通貫の進捗管理を開始。

(例3)創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業(BINDS)において、支援進捗管理に報告システムを導入し、PSPOが進捗状況を即時に把握、事業内連携／重点化に適した課題を新たに7課題認定。

④研究評価・課題管理の改善に向けた検討に基づく取組の着実な実施

- 研究マネジメントチェック項目(医薬品)について、令和元年度は、医薬品の実用化に関する公募課題を有する9事業について、事業を担当する部及び課と連携して運用を行った。同(医療機器)では医療機器の実用化に関する公募課題を有する2事業で運用し、同(再生医療)では1事業の公募で運用することにより、切れ目無く臨床研究等への移行を促進。

Ⅱ(1)業務運営の効率化に関する事項
②PDCAサイクルの徹底

期間実績評価

評定(自己評価)
B

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

	H27	H28	H29	H30	R1	見込	期間
自己評価	B	B	B	B	B	B	B
主務大臣評価	B	B	B	B		B	

①年度計画に沿った進捗状況の把握と評価

①-1「業務と予算に関する会議」

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

①-2 自己評価委員会及び外部評価委員会

- 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。

②研究成果に係る中間・事後評価の実施

- 中間・事後評価が必要な研究課題について、外部有識者により構成される「課題評価委員会」を平成27年度から令和元年度にかけて合計549回開催。
- 評価結果について、研究者にフィードバックし、また、適切に公表するとともに、追加配賦の課題選択、翌年度の研究費の配分、研究課題や事業の改善に活用。
- 評価の実施に当たり、必要と認めた課題をヒアリング審査対象とする等、効率的な評価を実施。

③医療分野研究開発速度の最大化に資する進捗管理

- 課題の進捗管理については実用化を見据えた目標設定やスケジュール管理を実施。

③医療分野研究開発速度の最大化に資する進捗管理

- 課題の進捗管理については実用化を見据えた目標設定やスケジュール管理を実施。
- PD・PS・POによるマネジメントのもと、各事業において、評価委員会や領域会議、班会議、サイトビジット、PS・PO会議等を通じて各研究課題の進捗管理、指導・助言、課題間連携の推進、研究方針の修正等のプロジェクトマネジメントを行った。また、PD・PS・POについて整備した利益相反マネジメントルールを適切に運用した。

(例1)革新的医療技術創出拠点プロジェクトにおける全ての拠点間の連携推進のため、全体会議を開催し、拠点における好事例の共有や重要課題の確認、協議等を実施。

(例2)革新的がん医療実用化研究事業においてサポート機関を設定し、次世代がん医療創生研究事業のサポート機関とともに、基礎研究から実用化までの一気通貫の進捗管理を開始。

(例3)感染症研究革新イニシアティブ(J-PRIDE)において、AMEDの国際的取組との縦横連携により、採択研究者が参加する日英ワークショップを開催し、国際共同研究の土壌を形成。

④研究評価・課題管理の改善に向けた検討に基づく取組の着実な実施

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

Ⅱ(1)業務運営の効率化に関する事項
②PDCAサイクルの徹底

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

令和元年度評価

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

期間実績評価

- 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」を平成27年度から令和元年年度にかけて合計549回開催。評価結果について、研究者にフィードバックし、また、適切に公表するとともに、追加配賦の課題選択、翌年度の研究費の配分、研究課題や事業の改善に活用。評価の実施に当たり、必要と認めた課題をヒアリング審査対象とする等、効率的な評価を実施。外部有識者により構成される課題評価委員会を設置し、中間・事後評価を実施。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。
- 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。
- 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。

Ⅱ(1)業務運営の効率化に関する事項
②PDCAサイクルの徹底

評価軸	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。

令和元年度評価

- 年度計画の達成に向けて、定期的に業務の進捗状況を把握・管理する体制を構築し、「業務と予算に関する会議」を実施。
- 令和元年度の業務実績及び第一期中長期目標期間に見込まれる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。

期間実績評価

- 年度計画の達成に向けて、定期的に業務の進捗状況を把握・管理する体制を構築し、「業務と予算に関する会議」を実施。
- 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、統括役、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。
- 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。

Ⅱ(1)業務運営の効率化に関する事項
②PDCAサイクルの徹底

評価軸 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。

令和元年度評価

- 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。
- PD・PS・POによるマネジメントのもと、各事業において、評価委員会や領域会議、班会議、サイトビジット、PS・PO会議等を通じて各研究課題の進捗管理、指導・助言、課題間連携の推進、研究方針の修正等のプロジェクトマネジメントを行った。また、PD・PS・POについて整備した利益相反マネジメントルールを適切に運用した。
- 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。
- 研究開発提案書を府省共通様式に統一するとともに、年度報告の簡素化や、事後評価資料を活用した総括報告の充実・効率化を実施し、研究者の研究活動の円滑化、及びPD・PS・POの効率的・効果的な進捗管理に寄与。
- 研究代表者が提出する進捗状況申告書等を基に、各領域担当のPS、POや外部有識者とともに研究代表者へのヒアリングやサイトビジット、班会議への参加等を行い、研究開発の進捗状況を把握し、必要に応じて研究代表者への指導、助言を行い、適切な課題管理に実施。
- 進捗管理の結果を踏まえて追加配賦や次年度の研究費配分を検討し追加配賦により研究の進展が期待できる課題の加速を図った。

期間実績評価

- 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。
- PD・PS・POによるマネジメントのもと、各事業において、評価委員会や領域会議、班会議、サイトビジット、PS・PO会議等を通じて各研究課題の進捗管理、指導・助言、課題間連携の推進、研究方針の修正等のプロジェクトマネジメントを行った。また、PD・PS・POについて整備した利益相反マネジメントルールを適切に運用した。
- 研究課題の重要なステージゲートにおいて実用化に必要な研究が着実に実施されているかの評価を行えるシステムづくりのため、医薬品、医療機器、再生医療の研究開発に関し、医薬品研究開発マネジメントチェック項目を作成・公表し、運用を開始した。
- 研究開発提案書を府省共通様式に統一するとともに、年度報告の簡素化や、事後評価資料を活用した総括報告の充実・効率化を実施し、研究者の研究活動の円滑化、及びPD・PS・POの効率的・効果的な進捗管理に寄与。
- 研究代表者が提出する進捗状況申告書等を基に、各領域担当のPS、POや外部有識者とともに研究代表者へのヒアリングやサイトビジット、班会議への参加等を行い、研究開発の進捗状況を把握し、必要に応じて研究代表者への指導、助言を行い、適切な課題管理に実施。
- 進捗管理の結果を踏まえて追加配賦や次年度の研究費配分を検討し追加配賦により研究の進展が期待できる課題の加速を図った。

Ⅱ(1)業務運営の効率化に関する事項
③適切な調達の実施

令和元年度評価

評定（自己評価）	
B	目標・計画に基づき策定した、令和元年度の「調達等合理化計画」に基づき、合理的な調達に向けた取組を着実に実施した。 ①競争契約原則の徹底及び入札の適正を期すため理事を委員長とする契約審査委員会において、２千万円以上の案件は全件を審査したうえで随意契約を行った。令和元年度より、さらなる競争性、透明性、利便性の確保の方策として参加者確認公募、郵便入札を導入した。 ②また、ホームページでの各種情報の公表による公平性・透明性の確保などを行った。 以上から目標を達成していると認められる。

① 契約実績

①-1 調達契約の制度改善

- 令和元年より、さらなる競争性、透明性を高めるため、真に競争性を有しないかを確認する手続きとして参加者確認公募を導入し、１５件を実施した。
- 令和元年度下期より、応札者が入札にかかる拘束時間や経費の削減をすることで、入札参加機会拡大を図ることとして郵便入札を導入し、２４件を実施した。

①-2 契約実績総数：4,164件（調達契約総数 1,039件、研究契約総数 3,125件）

- 競争性のある契約の調達契約：131件
  調達契約総数に占める割合 平成30年度 10.4% → 令和元年度 12.6% (2.2ポイント増)
- 競争性のない随意契約の調達契約：908件
  調達契約総数に占める割合 平成30年度 89.6% → 令和元年度 87.4% (2.2ポイント減)
- 競争性のある契約のうち研究契約：3,125件
  契約実績総数に占める割合 平成30年度 81.0% → 令和元年度 75.0% (5.9ポイント減)

②ホームページでの各種情報の公表

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

②-2 ホームページでの入札公告の公示、仕様書・入札説明書等の頒布等

Ⅱ(1)業務運営の効率化に関する事項
③適切な調達の実施

期間実績評価

評定(自己評価)	目標・計画に基づき策定した、各年度の「調達等合理化計画」に基づき、合理的な調達に向けた取組を着実に実施した。 ①平成27年度に比べ、随意契約は金額ベースで大幅に減少している。契約審査委員会において2千万円以上の案件について全件を審査したうえで随意契約を行なった。また競争性、透明性、利便性の確保方策として参加者確認公募、郵便入札を導入した。 ②ホームページでの各種情報の公表による公平性・透明性の確保などを行った。 以上から目標を達成していると認められる。
B	

	H27	H28	H29	H30	R1	見込	期間
自己評価	B	B	B	B	B	B	B
主務大臣評価	B	B	B	B		B	

① 契約実績

①-1 調達契約の制度改善

- 令和元年より、さらなる競争性、透明性を高めるため、真に競争性を有しないかを確認する手続きとして参加者確認公募を導入し、15件を実施した。
- 令和元年度下期より、応札者が入札にかかる拘束時間や経費の削減をすることで、入札参加機会拡大を図ることとして郵便入札を導入し、24件を実施した。

①-2 契約実績総数: 4,164件（調達契約総数 1,039件、研究契約総数 3,125件）

- 競争性のある契約の調達契約: 131件
  調達契約総数に占める割合 平成27年度10.0%→令和元年度12.6%（2.6ポイント増、金額ベースで54.2ポイント増）
- 競争性のない随意契約の調達契約: 908件
  調達契約総数に占める割合 平成27年度90.0%→令和元年度87.4%（2.6ポイント減、金額ベースで54.2ポイント減）
- 競争性のある契約のうち研究契約: 3,125件
  契約実績総数に占める割合 平成27年度 80.9% → 令和元年度75.0%（5.8ポイント減、金額ベースで0.8ポイント減）

② ホームページでの各種情報の公表

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

②-2 ホームページでの入札公告の公示、仕様書・入札説明書等の頒布等

Ⅱ(1)業務運営の効率化に関する事項
③適切な調達の実施

令和元年度評価

① 契約実績

（イ）調達契約総数：1,039件

- 競争性のある契約の調達契約：131件
  調達契約総数に占める割合　平成30年度 10.4% → 令和元年度 12.6% (2.2ポイント増)
- 競争性のない随意契約の調達契約：908件
  調達契約総数に占める割合　平成30年度 89.6% → 令和元年度 87.4% (2.2ポイント減)

（ロ）契約実績総数：4,164件（研究契約総数 3,125件、調達契約総数 1,039件）

- 競争性のある契約の契約実績：3,256件（研究契約　3,125件、調達契約　131件）
  契約実績総数に研究契約が占める割合　平成30年度 81.0% → 令和元年度 75.0% (5.9ポイント減)

令和元年度と平成30年度の契約実績比較　　(単位：件、億円)

	平成３０年度				令和元年度				比較増減（元年度-３０年度）			
	件数	比率	金額	比率	件数	比率	金額	比率	件数	比率	金額	比率
（イ）調達契約総数	929	100%	30	100%	1,039	100%	61	100%	110	0.0%	31	0.0%
競争性のある契約	97	10.4%	19	63.4%	131	12.6%	48	79.0%	34	2.2%	29	15.6%
競争入札	85	9.1%	16	53.7%	103	9.9%	43	71.0%	18	0.8%	27	17.3%
企画競争等	12	1.3%	3	9.7%	13	1.3%	2	3.8%	1	0.0%	▲ 1	▲ 5.9%
参加者確認公募	-	-	-	-	15	1.4%	3	4.2%	15	1.4%	3	4.2%
競争性のない随意契約	832	89.6%	11	36.6%	908	87.4%	13	21.0%	76	▲ 2.2%	2	▲ 15.6%

	平成３０年度				令和元年度				比較増減（元年度-３０年度）			
	件数	比率	金額	比率	件数	比率	金額	比率	件数	比率	金額	比率
（ロ）契約実績総数	4,884	100%	1,210	100%	4,164	100%	1,135	100%	▲ 720	0.0%	▲ 75	0.0%
競争性のある契約	4,052	83.0%	1,199	99.1%	3,256	78.2%	1,122	98.9%	▲ 796	▲ 4.8%	▲ 77	▲ 0.2%
うち　研究契約	3,955	81.0%	1,180	97.5%	3,125	75.0%	1,074	94.6%	▲ 830	▲ 5.9%	▲ 106	▲ 2.9%
競争性のない随意契約	832	17.0%	11	0.9%	908	21.8%	13	1.1%	76	4.8%	2	0.2%

（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△減は、令和元年度の対平成30年度差分である。
（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。

Ⅱ(1)業務運営の効率化に関する事項
③適切な調達の実施

期間実績評価

①契約実績

(イ)調達契約総数:1,039件

- 競争性のある契約の調達契約: 131件
  調達契約総数に占める割合 平成27年度10.0%→令和元年度12.6%（2.6ポイント増、金額ベースで54.2ポイント増）
- 競争性のない随意契約の調達契約: 908件
  調達契約総数に占める割合 平成27年度90.0%→令和元年度87.4%（2.6ポイント減、金額ベースで54.2ポイント減）

(ロ)契約実績総数: 4,164件（研究契約総数 3,125件、調達契約総数 1,039件）

- 競争性のある契約の契約実績: 3,256件（研究契約 3,125件、調達契約 131件）
  契約実績総数に研究契約が占める割合 平成27年度 80.9% → 和元年度 75.0%（5.8ポイント減、金額ベースで 0.8ポイント減）

令和元年度と平成27年度の契約実績比較　(単位：件、億円)

	平成２７年度				令和元年度				比較増減（元年度-27年度）			
	件数	比率	金額	比率	件数	比率	金額	比率	件数	比率	金額	比率
(イ) 調達契約総数	798	100%	52	100%	1,039	100%	61	100%	241	0.0%	9	0.0%
競争性のある契約	80	10.0%	13	24.8%	131	12.6%	48	79.0%	51	2.6%	35	54.2%
競争入札	77	9.6%	13	24.7%	103	9.9%	43	71.0%	26	0.3%	30	46.3%
企画競争等	3	0.4%	0	0.1%	13	1.3%	2	3.8%	10	0.9%	2	3.7%
参加者確認公募	-	-	-	-	15	1.4%	3	4.2%	15	1.4%	3	4.2%
競争性のない随意契約	718	90.0%	39	75.2%	908	87.4%	13	21.0%	190	▲ 2.6%	▲ 26	▲ 54.2%

	平成２７年度				令和元年度				比較増減（元年度-27年度）			
	件数	比率	金額	比率	件数	比率	金額	比率	件数	比率	金額	比率
(ロ) 契約実績総数	4,175	100%	1,152	100%	4,164	100%	1,135	100%	▲ 11	0.0%	▲ 17	0.0%
競争性のある契約	3,457	82.8%	1,113	96.6%	3,256	78.2%	1,122	98.9%	▲ 201	▲ 4.6%	9	2.3%
うち 研究契約	3,377	80.9%	1,100	95.5%	3,125	75.0%	1,074	94.6%	▲ 252	▲ 5.8%	▲ 26	▲ 0.8%
競争性のない随意契約	718	17.2%	39	3.4%	908	21.8%	13	1.1%	190	4.6%	▲ 26	▲ 2.3%

（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△減は、令和元年度の対平成27年度差分である。
（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。

Ⅱ(1)業務運営の効率化に関する事項
③適切な調達の実施

令和元年度評価
期間実績評価

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

(ホームページでの情報公開の例)

調達等合理化計画に関する取組状況

調達等合理化計画

- 令和元年度 PDF
- 平成30年度 PDF
- 平成29年度 PDF
- 平成28年度 PDF
- 平成27年度 PDF

調達等合理化計画の進捗

- 平成30年度 PDF
- 平成29年度 PDF
- 平成28年度 PDF

中小企業者に関する契約の方針

- 令和元年度における国立研究開発法人日本医療研究開発機構
- 平成30年度における国立研究開発法人日本医療研究開発機構
- 平成29年度における国立研究開発法人日本医療研究開発機構
- 平成28年度における国立研究開発法人日本医療研究開発機構
- 平成27年度における国立研究開発法人日本医療研究開発機構

環境物品等の調達方針及び調達実績

- 環境物品等の調達の推進を図るための方針 PDF
- 平成30年度における環境物品等の調達実績 PDF
- 平成29年度における環境物品等の調達実績 PDF

競争入札結果の公表

- 一般競争入札の契約実績 PDF 、低入札価格調査の実施概要 PDF

過去の契約分

- 平成30年度一般競争入札の契約実績 PDF 、低入札価格調査の実施概要 PDF
- 平成29年度一般競争入札の契約実績 PDF 、低入札価格調査の実施概要 PDF
- 平成28年度一般競争入札の契約実績 PDF 、低入札価格調査の実施概要 PDF
- 平成27年度一般競争入札の契約実績 PDF

随意契約情報の公表

- 随意契約の契約実績 PDF

Top

Ⅱ(1)業務運営の効率化に関する事項
③適切な調達の実施

令和元年度評価
期間実績評価

②-2　ホームページでの入札公告の公示、仕様書・入札説明書等の頒布等

(ホームページでの情報公開の例)



Ⅱ(1)業務改善の取組に関する事項
④外部能力の活用

令和元年度評価

評定(自己評価)	
B	目標・計画に基づき、費用対効果、専門性等の観点から業務を精査し、外部能力の活用が適当と考えられる業務については外部委託を着実に実施し、着実な業務運営を実施している。以上から目標を達成していると認められる。

〇費用対効果、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。その結果、令和元年度は684件を実施(平成27年度:460件、平成28年度:597件、平成29年度:546件、平成30年度:624件)。具体的な取組事例は次のとおり。

(取組事例)

■製薬企業OB、弁理士等の専門人材による機動的な相談対応を可能とすべく外部委託により知財リエゾンを全国配置。

■ライフステージにおけるヘルスケア・医療機器動向を検討するため、専門機関に外部委託を行い、(1) 高齢化により衰える機能の補完、QOL の向上に関する調査、(2) 小児・成育分野等の医療技術開発動向に関する調査、(3) ライフステージ横断的なヘルスケア・医療機器の動向調査、の3つの調査を実施。

■AMSの検索分析機能の強化のため"PubMED"型の用語辞書を活用したキーワード等の付与を、医学薬学系の論文データベースに対するキーワード付けの実績がある機関に委託。

■医療研究開発革新基盤創成事業(CiCLE)の事業管理支援。

■AMED知財情報基盤システム保守、令和元年度 AMEDオンライン課題評価システム機能拡張等のシステム開発業務。

■課題採択や評価、事業運営や研究者支援について外部委託を実施

- 交流会、各種評価委員会、シンポジウム、領域会議の会議運営
- 国際レビューアへの依頼、必要な情報の収集、連絡調整、査読実施等
- 公開シンポジウムの実施における申込・受付システムの構築、プログラム、抄録集編集作業、動画配信
- 研究開発課題の進捗管理の補助、適切な助言、支援を行うサポート機関

等

Ⅱ(1)業務改善の取組に関する事項
④外部能力の活用

期間実績評価

評定(自己評価)	
B	目標・計画に基づき、費用対効果、専門性等の観点から業務を精査し、外部能力の活用が適当と考えられる業務については外部委託を着実に実施し、着実な業務運営を実施している。以上から目標を達成していると認められる。

	H27	H28	H29	H30	R1	見込	期間
自己評価	B	B	B	B	B	B	B
主務大臣評価	B	B	B	B		B	

○ 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、研究課題の採択や評価、事業運営や研究者支援、内部管理等について、外部委託を推進。その結果、平成27年度:460件、平成28年度:597件、平成29年度:546件、平成30年度:624件、令和元年度:684件を実施。具体的な取組事例は次のとおり。

(取組事例)
■研究開発支援のための調査研究
- 再生医療の産業化等再生医療に関する調査研究
- 未診断疾患イニシアティブ(IRUD)の一環として、未診断疾患患者の診察状況の実態把握
- 米国における医療研究開発動向の調査

■研究課題の採択や評価
- 評価委員の委嘱に係る業務の一部を集約・一元化し、派遣職員が担う体制を構築
- 国際レビューアの導入に当たり、候補者の依頼手続きや必要な情報の収集、連絡調整等の業務を外部委託
- 医療研究開発革新基盤創成事業では、応募機関の財務状況、シーズとなる知的財産の特許性判断の調査を外部委託

■事業運営や研究者支援
- オンラインによる班会議システムの導入
- 各種評価会、シンポジウム、領域会議等の会議運営の外部委託
- 研究成果の海外展開を行うためのシンポジウム、ワークショップの開催の外部委託

■内部管理業務
- 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、業務フロー図等を作成
- ホームページのコンテンツ作成・掲載業務の支援、コンテンツマネジメントシステムの導入等を外部委託

等

Ⅱ(1)業務改善の取組に関する事項
④外部能力の活用

令和元年度評価
期間実績評価

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

■ 費用対効果、専門性等の観点から業務を精査し、外部能力の活用が適当と考えられる業務について、外部委託を推進。その結果、平成27年度：460件、平成28年度：597件、平成29年度：546件、平成30年度：624件、令和元年度：684件を実施。

Ⅱ(1)業務運営の効率化に関する事項
⑤業務の効率化

令和元年度評価

評定 （自己評価）	目標・計画に基づき、①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の効率的な執行に努めて着実に経費を削減している。また、②増加する業務に対応し業務の一層の効率化を行うとともに、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。以上から目標を達成していると認められる。
B	

①業務の効率化
- 運営費交付金を充当して行う事業について、令和元年度の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を行った（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）。

一般管理費：平成30年度予算額に対し2.8%削減、事業費：平成30年度予算額に対し3.8%削減

②総人件費
- 政府の方針に従い機構管理、定員管理及び人員配置を適切に行い、人事院勧告に基づく給与改定を行った。
- 増加する業務に対応し業務の一層の効率化を図るため、委嘱業務を派遣職員グループで引き続き実施し、事業部門の業務軽減による効率化、人員の増加抑制、人員配置の適正化を図った。

③給与制度、給与水準及び公表
- 給与制度は、類似の独立行政法人等の給与規則に準じた給与規程等を適正に運用し、規程類はホームページで機構内外へ公表している。
- 給与等の水準については、民間給与実態調査に基づく人事院勧告を踏まえ給与等を決定するなど適正化を図った。
- ラスパイレス指数を含めた給与水準の検証結果等公表は、平成30年度分について内容を分析・評価して公表した（令和元年6 月）

Ⅱ(1)業務運営の効率化に関する事項
⑤業務の効率化

期間実績評価

評定(自己評価)
B

目標・計画に基づき、①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の効率的な執行に努めて着実に経費を削減している。また、②増加する業務に対応し業務の一層の効率化を行うとともに、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。以上から目標を達成していると認められる。

	H27	H28	H29	H30	R1	見込	期間
自己評価	B	B	B	B	B	B	B
主務大臣評価	B	B	B	B		B	

①業務の効率化

- 運営費交付金を充当して行う事業について、令和元年度の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を行った(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)。
本中長期目標期間の毎年度平均で一般管理費2%以上、事業費1%以上の効率化を達成した。

- 一般管理費削減率、事業費削減率<モニタリング指標>

	H27年度	H28年度	H29年度	H30年度	R元年度	平均
一般管理費削減率	―	―	―	3.0%	2.8%	2.9%
事業費削減率	―	―	―	3.1%	3.8%	3.5%

※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。

Ⅱ(1)業務運営の効率化に関する事項
⑤業務の効率化

期間実績評価

②総人件費
- 政府の方針に従い機構管理、定員管理及び人員配置を適切に行い、人事院勧告に基づく給与改定を行った。
- 増加する業務に対応し業務の一層の効率化を図るため、委嘱業務を派遣職員グループで引き続き実施し、事業部門の業務軽減による効率化、人員の増加抑制、人員配置の適正化を図った。

③給与制度、給与水準及び公表
- 給与制度は、類似の独立行政法人等の給与規則に準じた給与規程等を適正に運用し、規程類はホームページで機構内外へ公表している。
- 給与等の水準については、民間給与実態調査に基づく人事院勧告を踏まえ給与等を決定するなど適正化を図った。
- ラスパイレス指数を含めた給与水準の検証結果等公表は、内容を分析・評価して公表した。

Ⅱ(1)業務運営の効率化に関する事項
⑤業務の効率化

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

令和元年度評価

・給与規程等（役員報酬規程、役員退職手当支給規程、定年制職員給与規程、任期制職員給与規程、職員退職手当支給規程及び在外職員の取扱に関する規則）はホームページで機構内外へ公表している。
・民間給与実態調査に基づく人事院勧告を踏まえ給与等を決定するなど給与等の水準の適正化を図った（平成30 年度のラスパイレス指数：108.3（年齢勘案）、91.5（年齢・地域・学歴勘案））。

期間実績評価

・給与規程等はホームページで機構内外へ公表している。
・民間給与実態調査に基づく人事院勧告を踏まえ給与等を決定するなど給与等の水準の適正化を図った。

	平成27年度	平成28年度	平成29年度	平成30年度	平成31年度
年齢勘案	109.8	109.5	106.0	108.3	
年齢・地域・学歴勘案	93.6	92.8	89.9	91.5	

Ⅱ(1)業務運営の効率化に関する事項
⑤業務の効率化

評価軸	給与水準の検証を行い、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。

令和元年度評価

・給与制度は、類似する独立行政法人等の給与規則に準じた給与規程等を、人事院勧告等により改正を適時で行い適正に運用した。
・ラスパイレス指数を含めた給与水準の検証の実施及び結果等の公表については、平成29年度分について内容を分析・評価して公表した（平成30 年6 月）。平成30 年度分については給与支給額をもとに、同様に内容を分析・評価して結果の公表を予定している（令和元年6 月）。

期間実績評価

・給与制度は、類似する独立行政法人等の給与規則に準じた給与規程等を、人事院勧告等により改正を適時で行い適正に運用した。
・ラスパイレス指数を含めた給与水準の検証の実施及び結果等の公表については、内容を分析・評価して公表した。

Ⅱ（2） 業務の電子化に関する事項

令和元年度評価

評定（自己評価）	
B	① AMED基盤情報システムの更改を計画通り実施した。これにより、情報セキュリティを確保しながら、機構外でも機構内と同じ業務システムが利用できるようになり、業務の効率化、災害時・パンデミック時の在宅勤務、業務継続性の向上など、様々な効果が期待される。 ② AMEDオンライン課題評価システムを改良しながら、運用を継続。AMSに新規採択課題の情報を連携することで、AMSの速報性を改善した。 以上から目標を達成していると認められる。

① 基盤情報システムの更改（令和2年1月）（第2期AMED基盤情報システムへの切り替え）

◆ ワークスタイルの変革への対応

・機構内では、多彩なコミュニケーション環境と情報共有基盤を提供し、業務生産性向上を図る。
・機構外でも、機構内と同じ業務システムが利用可能出張時の業務効率化と将来の在宅勤務に対応。
・データレスPCで紛失・盗難時のリスクを低減。

◆機構内外の関係者との業務連携強化

・機構外とのオンライン会議環境の整備。
・プロジェクト関係者の情報共有基盤として「プロジェクトポータル」を提供（予定）。

◆システム構成のシンプル化と運用効率化

・クラウド・バイ・デフォルト（クラウドを最大限利用）。
・クラウド基盤活用で拡張性を確保。
・クラウドサービス活用で災害時の業務継続性が向上。

①のつづき

★ 結果として新型コロナウイルス感染症対策として在宅勤務を迅速に開始できた。

② ARSの機能拡張とAMS連携

オンライン課題評価システム（ARS）のCOI管理機能を強化し、「課題評価委員会の委員の利益相反マネジメントの取扱いに関する細則」の規定遵守を容易に。

ARSが保有する、新たに採択された研究開発課題の情報をAMS（研究開発課題管理システム）に連携することでAMSの速報性を改善した。

③ 新財務会計システムの運用

機能拡張を進めながら安定運用し、AMEDの契約管理、会計管理業務全体に活用。

Ⅱ（2） 業務の電子化に関する事項

期間実績評価

評定（自己評価）	
B	①AMEDオンライン課題評価システムの導入、AMEDホームページの充実、AMEDぷらっとの運用等を通じ、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を進めた。 ②リモートアクセス環境と貸出用モバイル端末の導入、データの遠隔地保管の運用、認証印刷の導入等により機構内情報ネットワークの充実を図るとともに、業務の安全性、信頼性を確保した。 ③AMED基盤情報システムを対象に、業務・システム最適化計画を策定し、それを基に平成31年3月に次期AMED基盤情報システムを調達し、令和元年度に設計・構築、旧基盤からの切り替えを実施。以上から目標を達成していると認められる。

	H27	H28	H29	H30	R1	見込	期間
自己評価	C	B	B	B	B	B	B
主務大臣評価	B	B	B	B		B	

① 事務処理手続きの簡素化と機構の制度利用者の利便性向上

①－１ 事務処理手続きの簡素化・迅速化

- 文書管理システム、人事給与システム、新財務会計システムの運用と機能改善
- AMEDオンライン課題評価システムの運用開始（他）

①－２ 機構の制度利用者の利便性向上

- AMEDホームページの充実
- AMEDぷらっとの運用開始と利用拡大
- AMEDfind の運用開始 （他）

② 機構内情報ネットワークの充実等（主に第2期基盤情報システムで実現）

- リモートアクセス環境（個人スマホでメール確認可）
- クラウドサービスを可能な限り活用（→可用性）
- SIM内蔵のデータレスPC
  - → 機構外でも機構内と同様のシステム環境
  - → <u>在宅勤務の必要時に迅速に対応</u>
- マネージドプリントサービス
- 基盤と連携した認証印刷

③ 業務・システム最適化計画

- 平成28年度に次期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。
- 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（第2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。
- 平成30年度に次期AMED基盤情報システムを調達し、令和元年度に設計・構築し、基盤の切り替えを実施。

Ⅱ（2） 業務の電子化に関する事項

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

令和元年度評価

・AMEDオンライン課題評価システムの機能拡張（COI管理機能の強化、AMSとの情報連携）

・　新財務会計システムの機能拡張、安定運用、新データセンターへの円滑な移転

期間実績評価

事務処理手続きの簡素化・迅速化
- ・文書管理、人事給与、新財務会計、会議室予約等の基本的な業務システムの導入・運用・機能改善
- ・AMEDオンライン課題評価システムの開発・運用　（他）

機構の制度利用者の利便性向上
- ・AMEDホームページの充実
- ・AMEDぷらっとの運用開始と利用拡大
- ・AMEDfind の運用開始　（他）

以上のように業務の電子化を着実に進めている。

Ⅱ（2） 業務の電子化に関する事項

評価軸	幅広いICT需要に対応できる機構内情報ネットワークの充実を図ることとする。情報システム、重要情報への不正アクセスに対する十分な強度を確保するとともに、震災等の災害時への対策を確実に行うことにより、業務の安全性、信頼性を確保したか。

令和元年度評価

- 次期（第2期）AMED基盤情報システムの利用開始により、電子メール等の主要なシステムがクラウドサービスに移行し、災害時等の可用性が向上した。（以前は遠隔地データ保全）
- 通信機能（SIMカード）内蔵端末のデータレスPCの利用により、利便性とセキュリティを両立。クラウド利用と合わせて、災害時・パンデミック時の在宅勤務、業務継続が容易に実施可能に。

期間実績評価

- リモートアクセス環境（個人スマホでメール確認可）
- 貸出用モバイル端末
- データセンターと機構オフィス間の通信回線増強
- 各種ログの監視・分析業務の強化
- 想定外の災害対策としてのデータ遠隔地保存
- 認証印刷の導入

以上のように、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・パンデミック等の災害時への対応を着実に進めている。

Ⅱ（2） 業務の電子化に関する事項

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

令和元年度評価

・AMED基盤情報システムを対象とする業務・システム最適化計画に基づいて調達した次期（第2期）AMED基盤情報システムの設計、構築、テスト、運用準備等を行い、予定通り、令和２年１月に利用を開始した。
・これにより、当初の業務・システム最適化計画の目標をほぼ達成した。

期間実績評価

・平成28年度に次期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。
・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。
・平成30年度には、意見招請実施後に次期AMED基盤情報システムを調達し、落札者の決定に至った。
・令和元年度には、次期AMED基盤情報システムの設計・構築・切り替えを実施し、大きな混乱なく新基盤の利用を開始した。

以上のように最適化計画の策定と、それを実現するための次期AMED基盤情報システムへの切替えを着実に実行した。

Ⅲ（1）予算（人件費の見積りを含む。）、収支計画及び資金計画

令和元年度評価

評定（自己評価）	
B	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、事業の進捗に伴い中長期計画期間の予算を計画的に執行している。以上から目標を達成していると認められる。

①事業の進捗に伴い、中長期計画期間の運営費交付金予算を計画的に執行
- ・各部署に対し、今年度の運営費交付金予算は繰越ができないことを年度当初より周知。
- ・四半期毎に部長会議で執行状況を共有し、早期執行を促進。
- ・9月と12月には予算執行状況ヒアリングを行い、年度内執行計画の進捗状況に応じて予算の配分調整を行うことで、事業の円滑な実施に柔軟に対応。

②補助金部門について、新型コロナウイルス感染症対策に対応するため、収入支出予算及び予算実施計画を速やかに変更、事業の実施に貢献
- ・当初予算：オールジャパンでの医薬品創出プロジェクトから新興・再興感染症制御プロジェクトへの配分変更（462百万円）
- ・調整費：脳とこころの健康大国実現プロジェクトから新興・再興感染症制御プロジェクトへの配分変更（2,500百万円）
- ・予備費：オールジャパンでの医療機器開発プロジェクトへの追加配賦（313百万円）

Ⅲ（1）予算（人件費の見積りを含む。）、収支計画及び資金計画

期間実績評価

評定（自己評価）	
B	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、事業の進捗に伴い中長期計画期間の予算を計画的に執行している。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。以上から目標を達成していると認められる。

	H27	H28	H29	H30	R1	見込	期間
自己評価	B	B	B	A	B	B	B
主務大臣評価	B	B	B	B		B	

①各年度期末における運営費交付金債務の状況

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、事業の進捗に伴い中長期計画期間の予算を計画的に執行した。

②研究の適正かつ円滑な遂行のための取組

【研究費に係る概算払の基準額見直し】

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を直接経費20百万円から30百万円に増額し、研究機関の研究費請求事務の負担軽減等に貢献した。

【支払通知サービスの導入】

AMED研究資金の利便性向上を目的として、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、研究機関の入金業務担当者の負担を軽減した。

Ⅲ（1）予算（人件費の見積りを含む。）、収支計画及び資金計画

期間実績評価

②研究の適正かつ円滑な遂行のための取組

【研究費に係る概算払の基準額見直し】

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を直接経費20百万円から30百万円に増額し、研究機関の研究費請求事務の負担軽減等に貢献した。

〇伝票処理件数の減少実績

H29年度　7，608枚



16．0%（▲1，219枚）減

令和元年度　6，389枚

〇研究機関の声
・対象契約がある研究機関の93.1%で効果があったと回答
・効果として、以下の項目において高い回答率を得た。
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

【支払通知サービスの導入】

AMED研究資金の利便性向上を目的として、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、研究機関の入金業務担当者の負担軽減、及び労働環境の改善に繋がった。

〇支払通知サービスの導入効果

令和元年度末時点の配信対象は、機関数63機関、研究課題数2,918件（機構全体の研究課題数の75.3%）

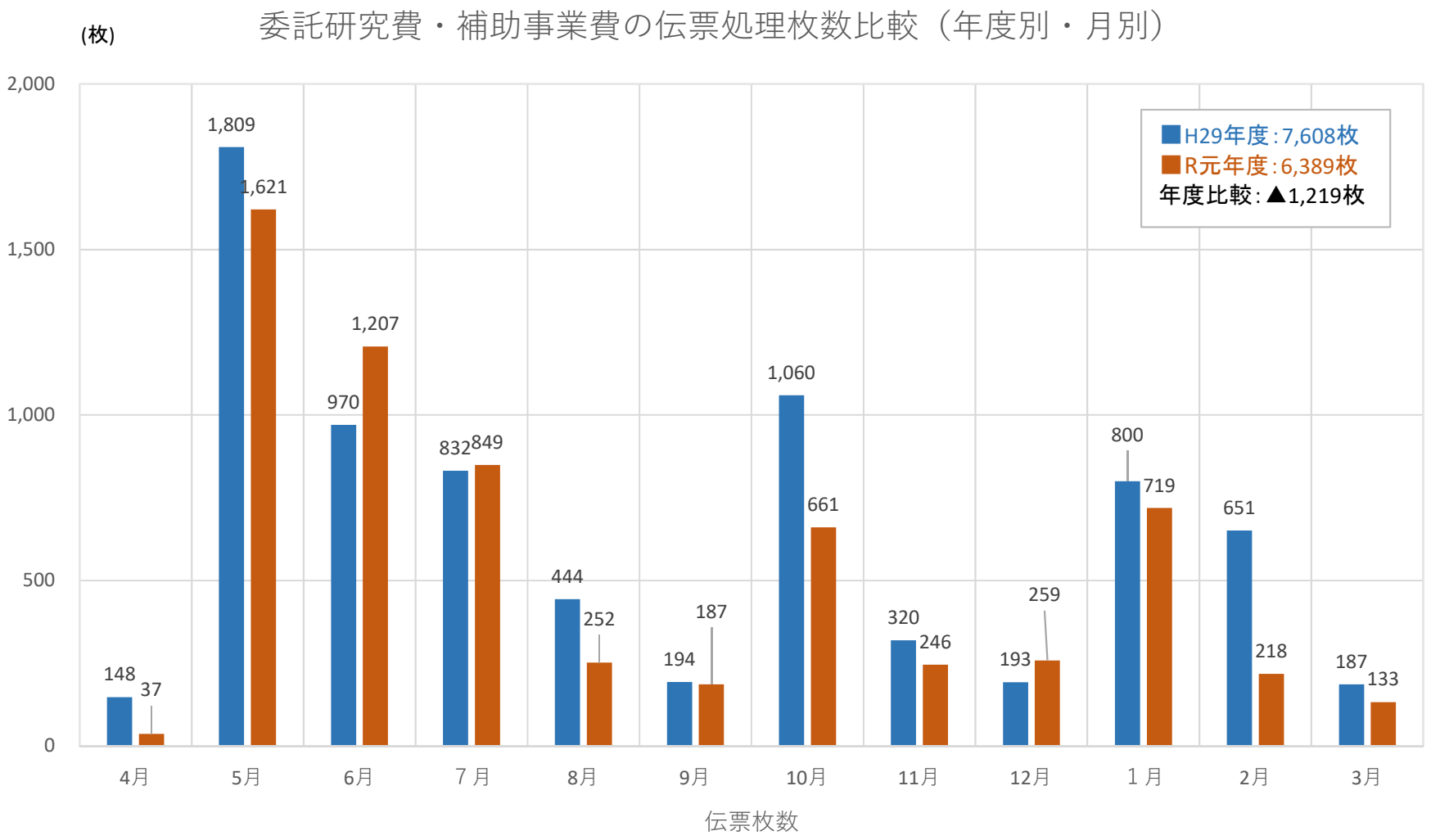
（導入前）
H29年度以前は、研究機関側の入金確認作業に相当の手間を要し、AMEDへの問合せが多数あった。

（導入後）
支払通知サービスの導入により、研究機関向けアンケートで86%が入金確認作業の軽減に「大いに役立っている」または「役立っている」と回答。

Ⅲ（1）予算（人件費の見積りを含む。）、収支計画及び資金計画

期間実績評価

研究費に係る概算払の基準額見直し



研究費に係る概算払の基準額見直し

実績・業務改善の検証（アンケート結果）

背景色：事務処理の効率化に係る記述　研究開発の促進に係る記述

・実績（伝票処理件数の減少）

平成29年度　７，６０８枚

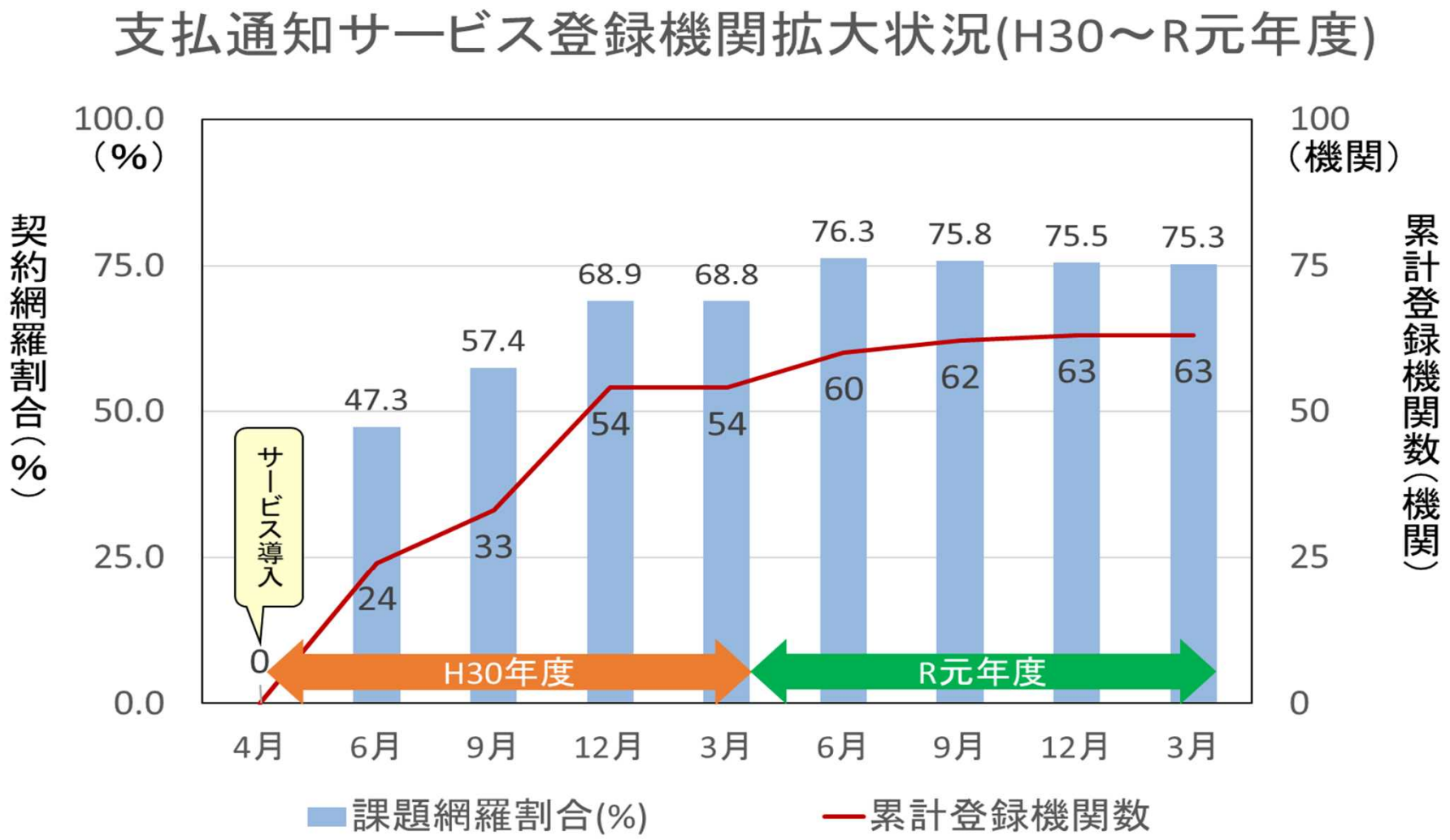
１６.０%減

令和元年度　６，３８９枚（▲１，２１９枚）

・研究機関の声

- 研究機関向けアンケートにおいて、対象契約がある機関の**93.1%**で効果があったと回答。
- 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。
- 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。

支払通知サービスの導入



支払通知サービスの導入

導入効果とその検証（アンケート結果）

・支払通知サービスの導入効果

平成29年度以前
・研究機関側では、AMEDからの入金目的やその内訳が明白でなく、確認作業に相当の手間を要していた。そのため、AMEDへの問合せも多かった。

平成30年度以降
・AMEDが研究機関等に対して支払を行う際に、研究機関側の経理担当者宛に入金目的やその内訳を明示した書類のメール配信を開始した。これにより、研究機関側での確認作業を軽減している。
・ 令和元年度末時点で配信対象となっているのは、機関数で63機関、研究課題数では2,918件である。これは、機構全体の研究課題数（3,876件）の75.3%を占めている。

・研究機関の声

・研究機関向けアンケートで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」を選択した。
・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」を選択した。

Ⅲ（2）短期借入金の限度額

令和元年度評価
期間実績評価

	H27	H28	H29	H30	R1	見込	期間
自己評価	-	-	-	-	-	-	-
主務大臣評価	-	-	-	-		-	

評定（自己評価）	実績なし。
—	

○短期借入の実績なし。

○短期借入金額実績＜モニタリング指標＞

	H27年度	H28年度	H29年度	H30年度	R元年度
短期借入金額実績	0円	0円	0円	0円	0円

Ⅲ（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

令和元年度評価

評定（自己評価）	
B	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。また、不要財産については独立行政法人通則法に則して適切に国庫納付を行っている。以上から目標を達成していると認められる。

①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
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。
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。

②委託研究期間終了後に研究を継続する場合
研究機関所在の研究機器等について、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。

③不要財産については独立行政法人通則法に則して適切に国庫納付
・医療分野研究成果展開事業・研究成果最適展開支援プログラム（A-STEP）
開発委託金回収債権の回収によって生じた収入の額（3,101百万円）
・医療研究開発革新基盤創成事業（CiCLE）
研究開発実施計画の変更による研究開発費の未払額（375百万円）

Ⅲ（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

期間実績評価

評定（自己評価）	
B	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。また、不要財産については独立行政法人通則法に則して適切に国庫納付を行っている。以上から目標を達成していると認められる。

	H27	H28	H29	H30	R1	見込	期間
自己評価	B	B	B	B	B	B	B
主務大臣評価	B	B	B	B		B	

①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。

②取得価額50百万円以上の研究機器等は網羅的に現地へ赴き、活用、管理状況を確認。
取得価額50百万円未満の研究機器等は抽出して同様の確認を実施。

③委託研究期間終了後に研究を継続する場合
研究機関所在の研究機器等について、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。

④不要財産については独立行政法人通則法に則して適切に国庫納付
・医療分野研究成果展開事業・研究成果最適展開支援プログラム（A-STEP）
開発委託金回収債権の回収によって生じた収入の額（3,101百万円）
・医療研究開発革新基盤創成事業（CiCLE）
研究開発実施計画の変更による研究開発費の未払額（375百万円）

Ⅲ（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

令和元年度評価

期間実績評価

評定（自己評価）	
—	実績なし。

	H27	H28	H29	H30	R1	見込	期間
自己評価	-	-	-	-	-	-	-
主務大臣評価	-	-	-	-		-	

〇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。

Ⅲ（5）剰余金の使途

令和元年度評価
期間実績評価

	H 27	H 28	H 29	H 30	R 1	見込	期間
自己評価	-	-	-	-	-	-	-
主務大臣評価	-	-	-	-		-	

評定（自己評価）	
—	実績なし。

〇AMED設立以来、目的積立金は生じておらず、実績なし。

Ⅳ(1)内部統制に係る体制の整備

令和元年度評価

評定（自己評価）	
B	①中長期目標・計画に基づき、内部統制推進委員会で令和元年度における内部統制の進め方について方針を決定した上で、内部統制を推進するために、「業務記述書、業務フロー図及びリスクコントロールマトリクス(RCM)」(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」)」を見直し・作成するとともに、自己点検（モニタリング）を実施した。 ②役職員を対象に、内部統制に関する研修を実施し、リスク発生の未然防止に努めている。 以上から目標を達成していると認められる。

① 内部統制推進委員会等の開催

- 内部統制を推進するため内部統制推進委員会を2回開催し、令和元年度における内部統制推進のための方針の決定及びモニタリング実施状況等を確認した。
- リスクの発生を防止するためリスク管理委員会を4回開催し、令和元年度における情報セキュリティ等に係る事象事例や超過勤務状況等の労務管理状況の報告を行った。

② ３点セット及び チェックリストの見直し、作成

- 内部統制を推進するための日常的モニタリングと位置付けている「①業務記述書、②業務フロー図、③リスクコントロールマトリクス(RCM)」(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」)」について、現状の業務内容との整合が取れるよう見直しを行った。
- 平成30年度に作成した業務マニュアルに基づいた業務処理手順の記載や情報セキュリティ事象の発生防止に向けた記載の追加を行った。

③ モニタリングの実施

- 内部統制が適正に行われているかの実効性を確認するため、策定した３点セット及びチェックリストの自己点検(モニタリング)を行った。

④ ３点セットとチェックリストの共有

- 既にAMED掲示板に掲示し、全職員で共有している３点セット及びチェックリストについて、今年度に更新した最新版に置き換えた。

⑤ 内部統制に関する研修の実施

- 内部統制に関する意識向上のため、役職員に対し、一般職員研修を2回、管理職員研修を2回実施した。

⑥ 管理･支援部門等に係る規定類の整備

- 管理・支援部門 各部総括課長会議を隔週開催し、情報共有や必要な指示の徹底を行うとともに、業務手順において必要な業務マニュアルの制定及び見直しを行った。

Ⅳ(1)内部統制に係る体制の整備

期間実績評価

評定(自己評価)
B

①中長期目標・計画に基づき、内部統制推進委員会で各年度における内部統制の進め方について方針を決定した上で、平成28年度以降は、内部統制を推進するための「業務記述書、業務フロー　図及びリスクコントロールマトリクス(RCM)」(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」)」を作成・見直しを行うとともに、自己点検(モニタリング)を実施した。
②役職員を対象に、内部統制に関する研修を実施し、リスク発生の未然防止に努めている。
以上から目標を達成していると認められる。

	H27	H28	H29	H30	R1	見込	期間
自己評価	B	B	B	B	B	B	B
主務大臣評価	B	B	B	B		B	

① 内部統制推進委員会等の開催

- 内部統制を推進するため、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年度から令和元年度までに毎年度開催し、計　12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の労務管理状況の報告など、平成27年度から令和元年度までに毎年度開催し、計13回実施した。

② 3点セット及び チェックリストの作成、見直し

- 平成28年度において、各部の3点セットと共通部門のチェックリストを作成した。
- 平成29年度からは毎年度全部署の3点セットとチェックリストについて見直しを行うとともに、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した。
- 令和元年度においては3点セットへ平成30年度に作成した業務マニュアルに基づいた業務処理手順の記載や情報セキュリティ事象の発生防止に向けた記載を追加した。

③ モニタリングの実施、3点セットとチェックリストの共有

- 29年度からは、全部署に対し、作成した3点セット等により自己点検(モニタリング)を行った。
- 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。

④ 災害時における体制確認のための環境整備

- 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。

⑤ 内部統制に関する研修の実施

- 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年度から令和元年度までに毎年度開催し、計18回実施した。

⑥ 管理･支援部門等に係る規定類の整備

- 平成30年度においては、業務手順におけるリスク発生を目的として管理・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。

Ⅳ(1)内部統制に係る体制の整備

評価軸

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

令和元年度評価

■ 内部統制推進委員会等の開催	前々ページ① を参照のこと
■ ３点セット及びチェックリストの見直し、作成	前々ページ② を参照のこと
■ モニタリングの実施	前々ページ③ を参照のこと
■ ３点セットとチェックリストの共有	前々ページ④ を参照のこと
■ 内部統制に関する研修の実施	前々ページ⑤ を参照のこと
■ 管理･支援部門等に係る規定類の整備	前々ページ⑥ を参照のこと

期間業績評価

■ 内部統制推進委員会等の開催	前ページ① を参照のこと
■ ３点セット及びチェックリストの作成、見直し	前ページ② を参照のこと
■ モニタリングの実施、３点セットとチェックリストの共有	前ページ③ を参照のこと
■ 災害時における体制確認のための環境整備	前ページ④ を参照のこと
■ 内部統制に関する研修の実施	前ページ⑤ を参照のこと
■ 管理･支援部門等に係る規定類の整備	前ページ⑥ を参照のこと

Ⅳ(2)コンプライアンスの推進

令和元年度評価

評定（自己評価）	
B	中長期目標・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 実施に関する規則を周知、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。以上から目標を達成していると認められる。

① 意識向上のための研修の実施

〇職員に対して、コンプライアンス意識を啓発するため、コンプライアンス研修を3回実施した。
（コンプライアンス研修の参加者数：443名）

② 規程の周知

〇課長相当職以上の役職員に四半期毎の贈与等報告書を求める際に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。

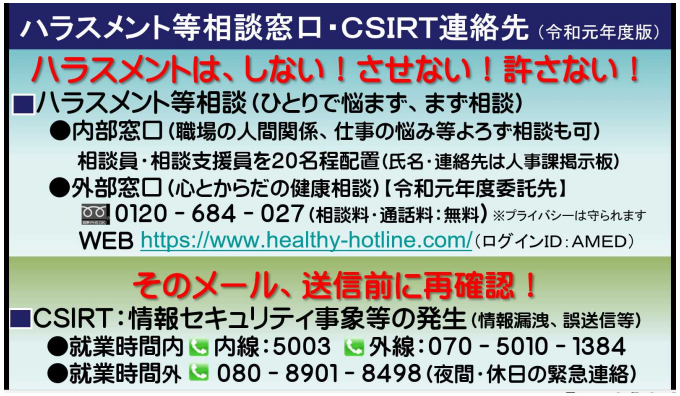
〇役職員に係る利益相反マネジメントの実施に関する規則を、年数回、全役職員に周知した。

③コンプライアンスの啓発

〇令和元年度は新たに次の取組みを行った。
（1）コンプライアンスハンドブックを作成し、役職員に配布した。

（2）12月にコンプライアンス週間を定め、期間中に研修やポスター掲示等集中的な啓発を行うことにより、コンプライアンス意識の定着を図った。

（3）常時携帯可能なコンプライアンスカード（ハラスメント等相談窓口の連絡先等記載）を役職員全員に配布した。



Ⅳ(2)コンプライアンスの推進

期間実績評価

	H27	H28	H29	H30	R1	見込	期間
自己評価	B	B	B	B	B	B	B
主務大臣評価	B	B	B	B		B	

評定（自己評価）
B

中長期目標・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 実施に関する規則を周知、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。
以上から目標を達成していると認められる。

①意識向上のための研修の実施

〇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。

〇平成27年度から令和元年度までに毎年度開催し、講義形式では計12回（延べ人数1,076名）、eラーニング形式では、延べ人数522名が受講した。

②規程の周知

〇平成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。

〇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。

③コンプライアンスの啓発

〇コンプライアンスハンドブックを作成し、役職員に配布した。
〇12月にコンプライアンス週間を定め、期間中に研修やポスター掲示等集中的な啓発を行うことにより、コンプライアンス意識の定着を図った。
〇常時携帯可能なコンプライアンスカード（ハラスメント等相談窓口の連絡先等記載）を役職員全員に配布した。

④紛失事案の対応

〇平成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年度から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。

〇リスク管理委員会での報告状況

・H30.10.25（平成30年度第１・２四半期分の取組状況報告）
・H31.2.7　（平成30年度第３四半期分の取組状況報告）
・R1.5.7　（平成30年度第４四半期分の取組状況報告）

Ⅳ(2)コンプライアンスの推進

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

令和元年度評価

■意識向上のための研修の実施　　前々ページ ①を参照のこと

■規程の周知　　前々ページ ②を参照のこと

■コンプライアンスの啓発　　前々ページ ③を参照のこと

期間業務評価

■意識向上のための研修の実施　　前ページ ①を参照のこと

■規程の周知　　前ページ ②を参照のこと

■コンプライアンスの啓発　　前ページ ③を参照のこと

■契約書紛失事案の対応＜平成29年度主務大臣による評価を踏まえた課題＞

リスク管理委員会にて、四半期毎に再発防止策の取り組み状況を報告させ、適正に機能していることを確認

〇リスク管理委員会での報告状況　　前ページ ④を参照のこと

〇報告内容

・契約書を保管しているキャビネットの鍵の管理状況（暗証番号式キーボックス、鍵持出簿の導入等）
・契約書の総体的管理の実施状況（毎週の契約書とファイリングの実数確認等）
・契約書等保管に関するチェックの実施状況（抜き打ちチェック含む。計22回実施）

Ⅳ(3)情報公開の推進等

令和元年度評価

評定（自己評価）	
B	①情報公開については、法人文書開示請求に対し適切に対応するとともに、公募・採択情報やプレスリリースの発出など情報の発信に積極的に取り組んだ。②個人情報の保護については、教育研修を実施するなどにより、適切な保護に取り組んだ。以上から目標を達成していると認められる。

① 情報公開

①－1 開示請求

機構のホームページに法人文書及び個人情報の開示請求手順について掲載を行っており、今年度3件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。なお、開示決定に関する審査請求、訴訟はなかった。

①－2 情報発信

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

②個人情報の保護

保有個人情報の不適正管理事案（漏えい、滅失、き損）が発生しないよう、役職員に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教育研修を行った。

今年度は、これまで実施している全役職員を対象とするeラーニングによる教育研修に加え、保有個人情報等を取り扱う情報システムの管理に従事する職員、個人情報保護管理者及び個人情報保護担当者を対象とする教育研修を、新たな教材を導入して実施した。

Ⅳ(3)情報公開の推進等

期間実績評価

評定（自己評価）
B

①情報公開については、法人文書開示請求に対し適切に対応するとともに、公募・採択情報やプレスリリースの発出など情報の発信に積極的に取り組んだ。②個人情報の保護については、教育研修を実施するなどにより、適切な保護に取り組んだ。以上から目標を達成していると認められる。

	H27	H28	H29	H30	R1	見込	期間
自己評価	B	B	B	B	B	B	B
主務大臣評価	B	B	B	B		B	

① 情報公開

①-1 開示請求

機構のホームページに法人文書及び個人情報の開示請求手順について掲載を行っており、平成27年度から令和元年度までに全16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。なお、開示決定に関する審査請求、訴訟はなかった。

①-2 情報発信

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月、AMEDホームページのリニューアルを行った。

② 個人情報の保護

平成27年度から令和元年度まで毎年度、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教育研修を行った。教育研修の内容については、毎年度、見直しを行っており、例えば平成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する等、適正化を図るための措置を講じている。

Ⅳ(3)情報公開の推進等

令和元年度評価
期間実績評価

① 情報公開

①-1 開示請求　　法人文書開示請求の実績

年度	開示請求件数	開示決定件数	不開示決定件数
平成27年度	2件	2件	0件
平成28年度	5件	5件	0件
平成29年度	3件	3件	0件
平成30年度	3件	2件	1件
令和元年度	3件	3件	0件

①-2 情報発信　　ホームページのWeb※アクセス件数

年度	アクセス件数
平成27年度	4,602,649件
平成28年度	6,114,664件
平成29年度	7,200,302件
平成30年度	7,839,298件
令和元年度	9,288,789件

※：URLがhttps://www.amed.go.jp/で始まるwebページのみを集計

Ⅳ(3)情報公開の推進等

令和元年度評価
期間実績評価

② 個人情報保護

e-ラーニング教育研修受講の実績

年度	受講対象者数	未ログイン者数	修了者数	ログイン率	修了率
平成27年度	456人	8人	445人	98.2%	97.6%
平成28年度	485人	6人	479人	98.7%	98.7%
平成29年度	527人	0人	527人	100%	100%
平成30年度	554人	0人	554人	100%	100%
令和元年度	573人	0人	573人	100%	100%

Ⅳ(3)情報公開の推進等

令和元年度評価
期間実績評価

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

〇情報公開については、開示請求に対し、適切に対応した（具体的な実績等については、「①-1開示請求」を参照）。

〇各種情報のホームページでの公開については、公募・採択情報やプレスリリースの発出など、情報の発信に積極的に取り組んだ（具体的な実績等については、「①-2情報発信」を参照）。

〇保有個人情報については、教育研修実施などにより、適切な保護に取り組んだ（具体的な実績等については、「②個人情報の保護」を参照）。

Ⅳ(4)情報セキュリティ対策の推進

令和元年度評価

評定（自己評価）	
B	情報セキュリティ研修の実施や、標的型攻撃メール訓練の実施などにより職員の情報セキュリティに係る意識向上を図っており、着実に情報セキュリティ対策を推進している。以上から目標を達成していると認められる。

①情報セキュリティ研修

・当該研修は、情報セキュリティに係る内部規定等情報を取り扱う上で遵守しなければならない事項の徹底を中心と、更に、メール誤送信、標的型メール攻撃、インシデント発生時の対応等を含めた情報セキュリティに係る意識向上を図るための研修である。

・新任者に対し受講を必須として、更に今年度は、平成29年度行ったe-ラーニングによる研修（受講率100%）実施後に入構した者で、これまで情報セキュリティ研修未受講者に対しても受講を必須とした。これにより在職者において一度も研修を受講していない者は皆無である。

② 標的型攻撃メール訓練

・今年度は、昨年度に続き巧妙化した疑似攻撃メールにより1回実施し、疑似攻撃メールの誤開封率は1.3%

・日頃より、巧妙化かつ高度化する標的型攻撃メールに対する危機意識の醸成に向けて、研修等様々な取り組みを行っている成果の現れ

③ 不審メールへの的確な対応

・Emotetと呼ばれるマルウェア感染を狙う攻撃メールが、国内外で急増し、独立行政法人情報処理推進機構からも注意喚起がなされた。

・AMEDでも、Emotet関連と推定されるAMEDからのメールの返信を装う有害メールを多数受信したが、最高情報セキュリティアドバイザーの指導を受けながら、職員への注意喚起を繰り返すとともに、不審メールの検知と防御の仕組みを強化することで、これまでのところ、不正侵入は認められない。

Ⅳ(4)情報セキュリティ対策の推進

期間実績評価

	H27	H28	H29	H30	R1	見込	期間
自己評価	B	B	B	B	B	B	B
主務大臣評価	B	B	B	B		B	

評定（自己評価）
B

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いる。以上から目標を達成していると認められる。

① 組織的な情報セキュリティ対策

①-1情報セキュリティポリシーの制定・改正

・「政府機関等の情報セキュリティ対策のための統一基準」を準拠し、平成27年に情報セキュリティポリシーを制定するとともに、統一基準改正に伴い、平成29年度及び平成30年度にポリシー改正を実施

①-2情報セキュリティポリシーに基づく体制整備

・各種実施手順類を作成し、平成29年5月に施行

・CSIRTを構築し、平成30年5月に運用を開始

②技術的な情報セキュリティ対策

・平成28年度からDDoS対策を導入
・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
・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
・令和元年度には、AMED基盤情報システムの更改により、セキュリティ対策機能の強化、クラウドサービスの活用による可用性向上

③教育研修等

・主に新任者を対象に、集合研修を実施（平成27年度～30年度）
・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（平成27年度～29年度）
平成30年度からは、AMED固有の内部規定や情報を取り扱う場合の遵守事項の徹底も含めた集合研修として実施することとし、新任者は受講必須とした情報セキュリティ研修として実施（平成30年度～令和元年度）
・役職員と派遣職員を対象に、最高情報セキュリティアドバイザーによる情報セキュリティ集合研修を実施（平成30年度）
・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等に係る集合研修を実施（平成30年度）
・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（平成27年度～令和元年度）
・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（平成28年度～30年度）
・各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等を確認するための自己点検を実施（平成30年度）

Ⅳ(4)情報セキュリティ対策の推進

令和元年度評価
期間実績評価

評価軸	適切な情報セキュリティ対策を実施したか。

モニタリング指標とな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等を実施し、着実にセキュリティ対策に取り組んでいる。

○情報セキュリティ研修実施回数（研修参加者人数）

・e-ラーニングによる研修

	研修開催数（参加者数）
平成27年度	2回（449名）
平成28年度	2回（479名）
平成29年度	2回（527名）

※平成29年度は、新たに派遣職員も受講対象に加えて実施。受講率は100%

・集合研修

	研修開催数（参加者数）
平成30年度	5回（292名）
令和元年度	回（325名）

※新任者は必須として実施。更に令和元年度では研修未受講者も必須としたため、在職者における未受講者はいない。

Ⅳ(5)職員の意欲向上と能力開発等

令和元年度評価

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

① 人事評価制度の運用・定着

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

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

②AMEDプログラムオフィサー（AMED−PO）制度の策定、認定等の運用

・研究開発プロジェクトマネジメント能力等に優れた職員を「AMEDプログラムオフィサー」として認定。
令和元年度はAMED-POとして8名認定。

③基礎研修

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

④能力開発研修

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

⑤女性の活躍促進、育児・介護等制度の整備

・男女共同参画を推進するため制度を設け、適切に運用した。

Ⅳ(5)職員の意欲向上と能力開発等

期間実績評価

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

	H27	H28	H29	H30	R1	見込	期間
自己評価	B	B	B	B	B	B	B
主務大臣評価	B	B	B	B		B	

① 人事評価制度の運用・定着

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

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

②AMEDプログラムオフィサー（AMED−PO）制度の策定、認定等の運用

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

AMED-POとして累計105名認定。

③基礎研修

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

④能力開発研修

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

⑤女性の活躍促進、育児・介護等制度の整備

・男女共同参画を推進するため制度を設け、適切に運用した。

Ⅳ(5)職員の意欲向上と能力開発等

令和元年度評価

①人事評価制度の運用・定着

①-1　人事評価制度の運用

・業績評価は、定年制職員・任期制職員について、令和元年5月末までに目標管理シートの作成を行った。任期制職員は契約更新、昇給等に反映させるため令和2年1月に業績評価、発揮能力評価を実施した。また令和元年11月に評価者研修会を開催して制度の普及、定着を促進した。（参加者16名）

①-2　人事評価結果の反映

・評価結果は、任期制職員等について令和2年度契約更新の判断材料とし、令和2年度の昇給へ反映、令和2年6月の期末手当へ反映予定

・定年制職員については、平成30年度の評価結果を令和元年7月の昇給及び期末手当に確実に反映。なお、令和元年度の評価は令和2年4月に業績及び発揮能力評価を行い、令和2年度の昇給、期末手当へ反映を予定

②AMEDプログラムオフィサー（AMED-PO）制度の策定、認定等の運用

・令和元年度AMED−PO認定者数：８名

期間実績評価

①人事評価制度の運用・定着

①-1　人事評価制度の運用

・業績評価は、定年制職員・任期制職員について、目標管理シートの作成を行った。任期制職員は契約更新、昇給等に反映させるため年度内に業績評価、発揮能力評価を実施した。また評価者研修会を開催して制度の普及、定着を促進した。

①-2　人事評価結果の反映

・評価結果は、任期制職員等について契約更新の判断材料とし、昇給へ反映、期末手当へ反映

・定年制職員については、評価結果を毎年7月の昇給及び期末手当に反映。

②AMEDプログラムオフィサー（AMED-PO）制度の策定、認定等の運用

・平成28年度からの累計AMED−PO認定者数：105名

Ⅳ(5)職員の意欲向上と能力開発等

令和元年度評価
期間実績評価

令和元年度の取組実績は下線付き

③基礎研修

・AMED全体研修：令和元年4月17日～19日に延べ5回開催　参加者305名
・ハラスメント研修：令和元年6月20日および6月27日　参加者215名
・メンタルヘルス研修・ラインケア研修：令和2年9月4日および9月9日　参加者78名
・ソーシャルスキル向上研修：令和2年9月11日　参加者74名
・英文E-mail研修（基礎・応用編）：令和2年2月5日、2月6日　参加者合計20名
・人事評価制度研修（評価者向け）：令和元年11月14日　参加者16名
・管理職研修：令和元年9月24日および9月25日　参加者63名
・安全保障輸出管理研修：令和元年10月31日、令和2年1月10日、22日　参加者235名

基礎研修等参加者数：延べ1,006名

基礎研修参加者数推移

平成27年度	平成28年度	平成29年度	平成30年度	令和元年度
1,053名	1,083名	1,029名	1,022名	1,006名

Ⅳ(5)職員の意欲向上と能力開発等

令和元年度評価
期間実績評価

令和元年度の取組実績は下線付き

④能力開発研修

- 職員の能力開発について、業務実施上で必要な基礎的な知識、実践的な知識の取得と専門分野の知識習熟を目的として計画を策定し、内外部講師及び外部関係機関等の協力を得て「医療研究開発業務研修」を実施した。また、本年度は、日常業務の効率向上と円滑、及び能力開発に注力を図るため、機構内の管理業務の内容を「共通基幹業務研修」とし、「医療研究開発業務研修」の一環として実施した。
- 医療研究開発業務基礎研修：令和元年9月4日～令和元年12月20日の期間に16回、出席者は延べ1,258 名。機構においてファンディング業務等に従事する職員が、臨床研究を含む医療研究開発に係る全般的な基礎知識（法令、制度、倫理、開発プロセス、PPI、生物統計、研究データ活用等）を得るための研修として、機構の事業部横断的に研修を実施した。
  また、「医学研究・臨床試験における患者・市民参画（PPI）」の強化のため「医学研究・臨床試験における患者・市民参画」についての課題や展望について研修、各専門分野での「AI」の浸透を目的とした「臨床の視点」と「情報側の視点」との取り組みによる、両観点からの研修を実施した。
- 共通基幹業務研修：7つの管理部門から各2回実施した。出席者は942名。契約・調達実務、AMEDにおける不正行為対応、監査の概要、決裁・文書管理、広報業務、働き方改革、利益相反、調整費の運用、サイバーセキュリティ等に係る規程、決裁ルート等の周知により、日常業務の効率化、円滑化とインシデントの抑制とリスク低減が図られることを目的に実施した。

能力開発研修等参加者数

平成27年度	平成28年度	平成29年度	平成30年度	令和元年度
611名	1,369名	1,927名	1,888名	1,258名

Ⅳ(5)職員の意欲向上と能力開発等

令和元年度評価

⑤女性の活躍促進、育児・介護等制度の整備

AMED職員の取得、利用状況（令和元年度）

	男性	女性	合計
育児・介護休業（部分休業含む）	1	15	16
早出勤務	1	18	19
介護休業	0	0	0
合計	2	33	35

期間実績評価

⑤女性の活躍促進、育児・介護等制度の整備

AMED職員の取得、利用状況（平成27年度～令和元年度）

	平成27年度	平成28年度	平成29年度	平成30年度	令和元年度
育児・介護休業（部分休業含む）	2	3	13	19	16
早出勤務	15	10	13	21	19
介護休業	0	2	1	0	0
合計	17	15	27	40	35

Ⅳ(5)職員の意欲向上と能力開発等

令和元年度評価
期間実績評価

AMED

評価軸 個人評価においては、適切な目標を設定し、その達成状況を多面的かつ客観的に適切にレビューすることにより、評価結果を賞与や昇給・昇格に適切に反映させるとともに、職員の勤労意欲の向上を図ったか。

評価については管理職に対し評価制度研修を行うなど適切な運用、定着を図った。評価結果については昇任、昇格、期末手当等に反映させる等職員の勤労意欲の向上を図った。

評価軸 職員の能力開発を図るため、業務を行う上で必要な知識の取得に向けた研修の機会を設けるなど、当該業務実施に必要な知識等の獲得に資する能力開発に努めたか。

職員の能力開発に資する研修を行った。詳細は基礎研修、能力開発研修を参照。

評価軸 女性の活躍を促進するための取組を推進したか。

女性の活躍を促進するための各種制度を設け、利用促進に努めた。取得利用状況は女性の活躍促進、育児・介護等制度の整備を参照。

Ⅳ　その他主務省令で定める業務運営に関する事項

（６）施設及び設備に関する計画（記載事項無し）

Ⅳ(7)職員の人事に関する計画

令和元年度評価

評定 （自己評価）	
B	①　人事評価制度の運用・定着を図るとともに、評価結果については、契約更新の判断材料に用いるとともに職員のモチベーションの向上及び異動、昇任等に反映させた。 ②　人材育成、業務の効率化等に資する様々な研修を開催した。 ③　適切な労務管理のため、ストレスチェックを実施するとともに、高ストレスと評価された職員には医師による面談、カウンセリングを実施した。また毎月、長時間労働職員に対し産業医面談を実施する等適切な対応を行った。 以上から、人材の配置、人材の育成について着実に運用し、目標を達成していると認められる。

① 人材配置

①-1　人事評価については、業績評価と発揮能力評価を計画通り実施した。

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

②人材育成

②-1　業務の効果的、効率的な実施及び基礎事項の周知、徹底等に資する研修を開催した。

②-2　職員の能力開発に資する基礎的な知識、実践的な知識の取得を目的とした研修を開催した。

③適切な労務管理

③-1　職員の超過勤務状況については月１回開催される安全衛生委員会へ報告するとともに、産業医から助言を受け対処を図っている

③-2　ストレスチェックを実施し、高ストレスの職員に対しては医師または産業医による面談、カウンセリングを実施した。

③-3　短期集中する業務については、派遣職員を導入する等して、職員の業務軽減を積極的に図っている。

③-4　職員の就業時間を正確に把握するため、始業時間、就業時間のデータをPCログで取り込み、適切な就業時間の把握、管理に努めた。
また、超過勤務時間が月80時間を超える職員には産業医面談を実施し、職員の健康確保に取り組んだ。

Ⅳ(7)職員の人事に関する計画

期間実績評価

評定（自己評価）
B

①人事評価制度の運用・定着を図るとともに、評価結果については、契約更新の判断材料に用いるとともに職員のモチベーションの向上及び異動、昇任等に反映させた。②人材育成、業務の効率化等に資する様々な研修を開催した。③適切な労務管理のため、義務化されたストレスチェックを実施するとともに、高ストレスと評価された職員には医師による面談、カウンセリングを実施した。また、毎月、長時間労働職員に対し産業医面談を実施する等適切な対応を行った。以上から、人材の配置、人材の育成について着実に運用し、目標を達成していると認められる。

	H27	H28	H29	H30	R1	見込	期間
自己評価	B	B	B	B	B	B	B
主務大臣評価	B	B	B	B		B	

① 人材配置

①−1　人事評価については、業績評価と発揮能力評価を計画通り実施した。

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

②人材育成

②−1　業務の効果的、効率的な実施及び基礎事項の周知、徹底等に資する研修を開催した。

②−2　職員の能力開発に資する基礎的な知識、実践的な知識の取得を目的とした研修を開催した。

③適切な労務管理

③−1　職員の超過勤務状況については月１回開催される安全衛生委員会へ報告するとともに、産業医から助言を受け対処を図っている

③−2　ストレスチェックを実施し、高ストレスの職員に対しては医師または産業医による面談、カウンセリングを実施した。

③−3　短期集中する業務については、派遣職員を導入する等して、職員の業務軽減を積極的に図っている。

③−4　職員の就業時間を正確に把握するため、平成30年度において、勤怠システムの改修を行った。これにより、始業時間、就業時間のデータをPCログで取り込み適切な就業時間の把握、管理に努めた。
また、超過勤務時間が月80時間を超える職員には産業医面談を実施し、職員の健康確保に取り組んだ。

Ⅳ(7)職員の人事に関する計画

令和元年度評価

①人材配置

①-1　人事評価制度の運用

・業績評価は、定年制職員・任期制職員について、令和元年5月末までに目標管理シートの作成を行った。
任期制職員は契約更新、昇給等に反映させるため令和2年1月に業績評価、発揮能力評価を実施。

①-2　人事評価結果の反映

・評価結果は、任期制職員等について令和2年度契約更新の判断材料とし、令和2年度の昇給へ反映、
令和2年6月の期末手当へ反映予定

・定年制職員については、平成30年度の評価結果を令和元年7月の昇給及び期末手当に確実に反映。なお、
令和元年度の評価は令和2年4月に業績及び発揮能力評価を行い、令和2年度の昇給、期末手当へ反映を予定

・評価結果を踏まえ、人員配置（昇任、異動）に反映。

②人材育成

②-1　基礎研修についてはⅣ－（５）職員の意欲向上と能力開発等を参照

②-2　能力開発研修についてはⅣ－（５）職員の意欲向上と能力開発等を参照

期間実績評価

①人材配置

①-1　人事評価制度の運用

・業績評価は、定年制職員・任期制職員について、毎年5月末までに目標管理シートの作成を実施した。
任期制職員は契約更新、昇給等に反映させるため毎年1月に業績評価、発揮能力評価を実施した。

①-2　人事評価結果の反映

・評価結果は、任期制職員等について翌年度の契約更新の判断材料とし、昇給、期末手当へ反映した。

・定年制職員については、評価結果を翌年の7月の昇給及び期末手当に反映した。

・評価結果を踏まえ、人員配置（昇任、異動）に反映した。

Ⅳ(7)職員の人事に関する計画

令和元年度評価

③適切な労務管理

③-1　安全衛生委員会を下記日程で開催

4月度:4月17日(水)	8月度:　8月21日(水)	12月度:12月18日(水)
5月度:5月15日(水)	9月度:　9月18日(水)	1月度:　1月22日(水)
6月度:6月19日(水)	10月度:10月16日(水)	2月度:　2月19日(水)
7月度:7月17日(水)	11月度:11月20日(水)	3月度:　3月18日(水)

③-2　ストレスチェックを実施、受診率は約87%だった。

③-3　外部委託の推進

募集、採択、契約など短期集中する業務について、派遣職員を導入し、職員の業務の軽減を図った。

③-4　PCによる就業時間の客観的把握・管理を行うとともに、超過勤務時間が月80時間を超えた職員については産業医面談を実施し、職員の健康確保に取り組んだ。

期間実績評価

③適切な労務管理

③-1　安全衛生委員会を開催

毎月1回、原則第3木曜日(令和元年度より第3水曜日)に開催した。

③-2　ストレスチェックを実施、受診率は平成29年度、平成30年度ともに約86%、令和元年度は87%だった。

③-3　外部委託の推進

募集、採択、契約など短期集中する業務について、派遣職員を導入し、職員の業務の軽減を図った。

③-4　PCによる就業時間の客観的把握・管理を行うとともに、超過勤務時間が月80時間を超えた職員については産業医面談を実施し、職員の健康確保に取り組んだ。

Ⅳ(7)職員の人事に関する計画

令和元年度評価
期間実績評価

評価軸	人材の配置に関する運用は適切か。

職員の経験、能力、専門性を踏まえ、適正な配置を行った。

評価軸	人材の育成に関する運用は適切か。

業務の効果的、効率的な実施を図るため基礎事項の周知、徹底を図る基礎研修を実施
職員の能力開発に資する実践的な知識の取得を図ることを目的にした能力開発研修を実施
上記研修を踏まえ人材育成する機会を適正に提供した。

Ⅳ（8）中長期目標の期間を超える債務負担

令和元年度評価
期間実績評価

評定（自己評価）
B

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。

	H27	H28	H29	H30	R1	見込	期間
自己評価	-	-	-	-	B	-	B
主務大臣評価	-	-	-	-		B	

○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。
（H29年度：56,573千円、令和元年度：1,963,320千円、累積：2,019,893千円）

Ⅳ（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

令和元年度評価
期間実績評価

評定（自己評価）	
—	実績なし。

	H27	H28	H29	H30	R1	見込	期間
自己評価	-	-	-	-	-	-	-
主務大臣評価	-	-	-	-		-	

〇前中長期目標期間繰越積立金はないため、実績なし。