資料3

令和2年度における業務実績自己評価報告書概要
【本体】
（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 …… 2
（1）AMED に求められる機能を発揮するための体制の構築等 …… 2
（2）基礎研究から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施 …… 7
①医薬品プロジェクト …… 8
②医療機器・ヘルスケアプロジェクト …… 10
③再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト …… 12
④ゲノム・データ基盤プロジェクト …… 14
⑤疾患基礎研究プロジェクト …… 16
⑥シーズ開発・研究基盤プロジェクト …… 18
（3）基金等を活用した中長期的な研究開発の促進等 …… 20
①政府出資を活用した産学官共同での医薬品・医療機器の研究開発の促進等 …… 21
②健康・医療分野におけるムーンショット型研究開発等 …… 23
③新型コロナウイルスワクチンの開発支援 …… 25
（4）疾患領域に関連した研究開発 …… 27
Ⅱ．業務運営の効率化に関する事項 …… 28
Ⅲ．財務内容の改善に関する事項 …… 30
Ⅵ．その他業務運営に関する重要事項 …… 31

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

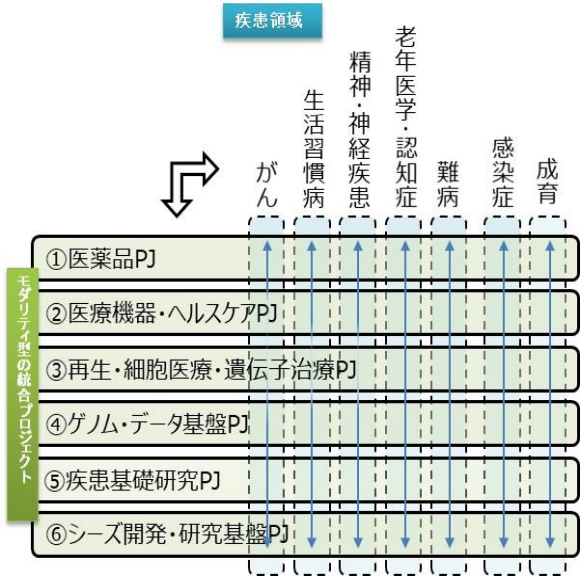
① 医療に関する研究開発のマネジメント、② 研究不正防止の取組の推進、③ 研究データマネジメント、
④ 実用化に向けた支援、⑤ 国際戦略の推進

評　定	
自己評価 A	モダリティを軸として再編された新たな統合プロジェクトにおいて、「予防/診断/治療/予後・QOL」という明確な開発目的の下、新たな又は横断的な技術を多様な疾患領域に効果的・効率的に展開するため、PDや新規に配置した疾患領域コーディネーター(DC)の連携を促進する機会を新たに設けるとともに、AMSを疾患領域や開発目的別に集計・分析可能な形に進化させるなど、第2期ならではの研究開発マネジメントが可能となる基盤・体制を新たに構築した。 複数の統合プロジェクトや疾患領域で、第2期の狙いに沿った具体的取組も既に進捗している。 理事長の重点的推進方針として「三島イニシアティブ」を立ち上げ、第1弾として、研究開発データ利活用基盤の構築に向けた計画を立案するなど、更なる基盤強化を進めている。 COVID-19の影響に対しても、公募開始の前倒しや研究期間延長等、着実かつ迅速に対処した。 研究成果創出のサポート機能である、研究公正、実用化支援、国際戦略の推進等にも、顕著な取組が認められる。以上より、全体として目標達成に向けて顕著な進捗、取組が認められる。

①医療に関する研究開発のマネジメント

①－1　モダリティを軸とした第2期のためのマネジメント基盤・体制構築

- PD全員が参加する統合プロジェクト連携会議(PD全体会議)を新たに立ち上げ、統合プロジェクト間連携等を議論する体制を構築した。令和2年度は2回開催し、AMEDの運営の現状や課題、国際連携活動等を議論した。
- 各疾患領域に深い知見等を有するDCを新たに配置し、個別面談及び全体会議を各1回以上開催するとともに、PDや疾患関連事業のPSPOとDCとの意見交換等も実施した。
- AMSのデータに疾患領域タグを付け、統合プロジェクトだけでなく疾患領域の観点等からも課題数や予算の把握が可能な形に進化させた。



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

① 医療に関する研究開発のマネジメント、② 研究不正防止の取組の推進、③ 研究データマネジメント、
④ 実用化に向けた支援、⑤ 国際戦略の推進

- 研究開発マネジメントのための更なる基盤強化等に向けた第2期独自の理事長の重点的推進方針として「三島イニシアティブ」を立ち上げた。第1弾として世界最高水準の質の高い医療を提供するためのデータ利活用基盤の構築を目指すことを打ち出し、計画立案等を進めた。
- 複数の統合プロジェクトにまたがる疾患関連事業では、関係部課の必要な権限を担当に付与して縦横で円滑に連携できる体制をPSPOの下で構築し、複線化した意思決定ルートの効率化等の工夫を重ねた。
- 複数の統合プロジェクトや疾患領域で、第2期の狙いに沿った具体的取組も既に進捗している。

➢ 新たな医療技術等の様々な疾患への効果的な展開

– 医薬品プロジェクトの基盤技術開発とがんや難病の疾患研究とが連携し、モダリティ技術の応用展開により、新薬創出のためその技術や知見等の疾患横断的な活用を図った。（Ⅰ（2）①参照）

➢ 「予防／診断／治療／予後・QOL」という開発目的を明確にしたマネジメント

– 第2期での新たな統合プロジェクトであるヘルスケア分野の方向性を定めるため、ライフステージと開発目的（予防、診断、治療、予後・QOL）に応じた取組と調査、対外発信を行った。（Ⅰ（2）②参照）

➢ 基礎と実用化の橋渡し等の事業間連携

– 再生医療及び遺伝子治療では、研究者交流会や医工各機関が相互に発表する会議の開催、両分野を一体化した新規公募など、プロジェクト内外の連携や異分野融合に取組んだ。（Ⅰ（2）③参照）

– 疾患基礎研究プロジェクトでは、臨床上の課題を取り込んだ研究開発基盤の構築と強化するため、精神・神経疾患にかかる双方向的トランスレーショナル研究を推進した。（Ⅰ（2）⑤参照）

➢ プロジェクト間やFA間の連携、異分野融合等

– 三島イニシアティブとしてオールジャパン体制でのデータ利活用推進基盤の構築に向けた計画を立案・推進した。（Ⅰ（2）④参照）

– AMED-CRESTでは、JST-CRESTとの共同運営体制の連携構築に向けた取組を開始した。（Ⅰ（2）⑥）

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、② 研究不正防止の取組の推進、③ 研究データマネジメント、
④ 実用化に向けた支援、⑤ 国際戦略の推進

①－２　COVID-19 への着実、迅速かつ的確な対応

- COVID-19 関連研究開発のための補正予算等がAMEDに1,386億円措置された一方、追加的な体制増強が図れない中で、公募開始の前倒し、機構内の決定プロセスの迅速化等を行い、早期採択や、研究開発の加速化を図った。
- COVID-19 のため研究機関の研究活動や資材購入が停滞するなか、研究遅延等の実態を迅速に調査し、研究費繰越や研究期間延長等の手続を計画的に実施し、円滑な事業運営を図った。

②研究不正防止の取組の推進

研究不正防止の取組の推進および研究費不正・研究不正の疑惑への適切な対応を行い、以下の成果を得た。

- 「研究公正シンポジウム　研究公正において指導的役割を果たす人材　～その役割、資質、育成～」を、AMED主催、4 FAの共催で開催し、196名の参加を得て、研究公正に対する意識の向上に寄与した。
- 「シンポジウム　研究データの重要性と研究公正の推進」を開催し、146名の参加を得て、データ管理の重要性について意識向上に寄与した。
- 研究データ管理の指導者を育成するため、「研究公正ワークショップ　研究公正に関するヒヤリ・ハット事例から学ぼう！」を、令和3年1月28日と3月4日の計2回開催し、36名の参加を得て、指導者育成に努めた。
- 韓国研究財団（NRF）の要請を踏まえ、「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」の英語版を作成し、RIOネットワークメールマガジン等により普及啓発に努めた。
- 大学・学会等主催のシンポジウム・講演会等に講演者として参加し、研究倫理教育の普及・拡大に寄与した。

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

① 医療に関する研究開発のマネジメント、② 研究不正防止の取組の推進、③ 研究データマネジメント、
④ 実用化に向けた支援、⑤ 国際戦略の推進

③研究データマネジメント

AMEDが支援する研究開発の進捗状況等の適切かつ効率的なマネジメントや、研究開発から得られたデータの利活用により、優れた研究成果やイノベーション創出を促進すべく、そのために必要な基盤や制度の整備等を積極的に進めるため、以下の取組を行った。

- AMSを活用し、モダリティや疾患領域の観点での研究の進捗状況の把握や、研究成果や知的財産の管理等の研究マネジメントの効率的な実施のための基盤を整備した。
- 研究開発データの2次的な利活用の可能性の拡大や研究開発の実用化を促進するため、今後の企業等におけるデータ利活用やデータカタログの作成・公開を見すえ、「AMED研究データ利活用に係るガイドライン」及びデータマネジメントプラン（DMP）の様式を分かりやすく改訂するとともに、円滑な第三者提供をサポートするためのツールとして、個人情報の第三者提供に関する同意書のひな型案や、データ利用許諾契約書のひな型案を作成した。
- 研究開発マネジメントのための更なる基盤強化等に向けた第2期独自の理事長の重点的推進方針として「三島イニシアティブ」を立ち上げた。第1弾として、世界最高水準の質の高い医療を提供するためのデータ利活用基盤の構築を目指すことを打ち出し、計画立案等を進めた。（再掲）

④実用化に向けた支援

AMED各事業における精力的な支援実施や、内外連携強化による支援深化による知財取得、導出促進の観点で以下の取組を行った。

- 機構内連携強化を図り、有望シーズを適時に把握し支援を行い、研究機関の知財取得数116件、企業とのマッチング数111件達成に貢献した。また、バイ・ドール対象の知財管理（約2300 件）を行い、戦略的な知財管理に貢献した。
- 新規支援として、知財取得や導出に向けた追加データ取得費用支援を行うインキュベーション支援を試行的に1件実施し、導出活動に貢献した。

（次頁に続く）

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、② 研究不正防止の取組の推進、③ 研究データマネジメント、④ 実用化に向けた支援、⑤ 国際戦略の推進

- 知財支援では、コンサルテーション277件、知財調査45件実施し、知財戦略策定に貢献した。
- マッチング支援では、商談会に約60課題を支援、官民意見交換のもとマッチングを実施し、導出に貢献した。
- PMDA連携協定に基づくレギュラトリーサイエンス（RS）戦略相談に係る支援を実施するとともに、株式会社INCJとの連携による実用化支援の検討やファンディング9機関によるスタートアップ支援協定の締結を通じて、実用化推進に貢献した。
- 更なる支援手法深化の検討に向け、実用化に繋がった課題に関する分析調査を実施。各事業部と連携し、調査手法の設計や事例選定を行った。

⑤国際戦略の推進

AMED事業の研究者の国際人材交流、若手PIのアイデアの国際連携による実現、途上国のコロナ禍への貢献やグローバルなデータシェアリング等の推進を図るため、以下の取組を行った。

- 国際性、異分野融合、新規分野の知識の習得等世界の知を取り込む観点から、ECの研究機関への中長期派遣、米国のデータサイエンティスト研修への参画等、新たに国際研究人材を育成する仕組みを構築した。
- 若手PI等による健康長寿を実現するイノベーティブなアイデアを国際連携で実現するため、世界の企業や財団が競争的・段階的に支援する全米医学アカデミーの第一回プログラムに44件を登録し、研究を開始した。
- アフリカ、アジアのコロナ禍への緊急対応のため、当該地域のFA等が参加するCOVID-19等のシンポジウムを主催し、我が国の成果等を発表するとともに最新情報を交換するなど地域の対策立案に貢献した。
- グローバルなデータシェアリング推進のため、地球規模保健課題事業において慢性疾患世界連合（GACD）との国際協調公募に参加し、採択プロジェクトが参加する科学者会合年会でデータや成果の共有を行った。
- 国際共同研究の効果的な推進のために、e-ASIA事業に参加するFAと将来構想WGを企画・運営し、AMED主導でカナダ保健研究機構と定期的な研究開発動向検討会を実施するとともに、GACDのプログラム運営委員に参加するなどにより、新規募集研究領域の設定等を行った。

Ⅰ．(2)基礎研究から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

①医薬品プロジェクト、②医療機器・ヘルスケアプロジェクト、③再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト、
④ゲノム・データ基盤プロジェクト、⑤疾患基礎研究プロジェクト、⑥シーズ開発・研究基盤プロジェクト

評　定	
自己評価 A	①医薬品プロジェクトにおいて、事業間連携や新規枠組みの創設に取り組み、モダリティに係る横断的な技術や新たな技術の多様な疾患領域への効果的・効率的な展開を通じて、今後さらに成果を創出していくための基盤を充実させた。 ⑤疾患基礎研究プロジェクトにおいて、複数の疾患に共通する課題の研究開発を戦略的に推進し、臨床研究と基礎研究を連携させる「双方向トランスレーショナル研究（TR）」の枠組み構築を目指し、より大きな成果の一刻も早い創出、実用化を実現するための基盤を強化した。 その他、評価単位（Ⅰ．(2)基礎研究から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施）における項目別の自己評価は以下のとおりであり、本評価単位として、下記（※）に基づき、A評価とする。

（※）第2期中長期目標期間における国立研究開発法人日本医療研究開発機構の業務実績に関する評価要領（案）に基づく自己評価ランク

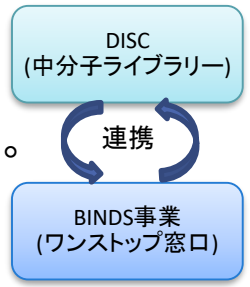
第2期中長期目標_項目		自己評価	右記に基づく点数	（※）評価要領（案）抜粋
Ⅰ．(2)基礎研究から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施		A	3.3	**(1)点数化** 項目別評定評定結果を次のとおり点数化する。 s：4、a:3、b:2、c:1、d：0 **(2)平均値の算出** (1)による評価単位の点数を平均し、上位の項目の点数を算出する。 **(3) ランク付け** (2)で算出した点数を次のとおりランク付けし、ランクに対応する評定を主務大臣評価とする。 3.5以上　：S 2.5以上3.5未満：A 1.5以上2.5未満：B 0.5以上1.5未満：C 0.5未満　：D
項目別評定	①医薬品プロジェクト	s	4	
	②医療機器・ヘルスケアプロジェクト	a	3	
	③再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト	a	3	
	④ゲノム・データ基盤プロジェクト	a	3	
	⑤疾患基礎研究プロジェクト	s	4	
	⑥シーズ開発・研究基盤プロジェクト	a	3	

Ⅰ．(2)基礎研究から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施
①医薬品プロジェクト

評　定	
自己評価 S	医薬品プロジェクトの事業間連携や新規枠組みの創設に取り組み、モダリティに係る横断的な技術や新たな技術の多様な疾患領域への効果的・効率的な展開を通じて、今後さらに成果を創出していくための基盤を充実させた。 ①疾患横断的な研究開発推進の新たな取組や産学連携の新規枠組みを創設した。 ②COVID-19への迅速な研究支援、基盤整備を実施し、臨床段階まで到達した。 ③評価指標の達成に向けて顕著な進捗が見られる。 以上より、全体として特に顕著な成果の創出や取組みが認められる。

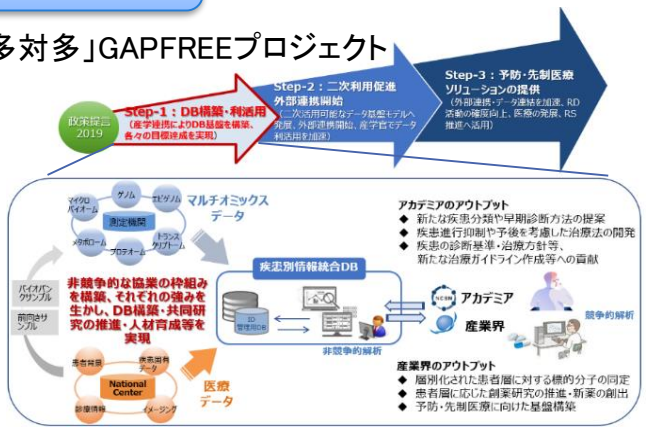
①疾患横断的な研究開発推進の新たな取組や産学連携の新規枠組みを創設した。

- DISCにおいて新たに中分子ライブラリーの構築開始（厚労省事業）。BINDS（文科省事業）と連携させ、全てのアカデミア研究者の同ライブラリー活用の体制を構築し、基盤としての相乗効果を実現。
- 寄附金を原資とし、疾患の枠組みを超えて、すべての創薬研究者を対象とした国費に頼らずに現場ニーズを踏まえた新たな若手育成の枠組みを創設。寄附金受領後直ちに公募を開始。
- 新たに、医薬品PJ内の基盤技術開発と疾患研究を連携した結果、双方にとっての更なる推進効果が認められ、モダリティ技術の応用展開により、第二期戦略に記載された、「新薬創出を目指すために技術・知見等を疾患横断的に活用」することに着手。
- 産業界のニーズを的確にとらえ、GAPFREEプロジェクトにおいて、アカデミア・企業双方の多様な視点から研究開発を推進する「多対多」の新たな枠組みを構築（アカデミア4機関、企業7社が参加）



	低分子薬	中分子薬	抗体
分子量	<500	500-2000	150000
特異性	低い	高い	高い
細胞内標的	可能	可能	不可能
PPI阻害	不適	適	適
経口投与	可能	可能	不可能（注射）
化学合成	可能	可能	不可能

■「多対多」GAPFREEプロジェクト



Ⅰ．(2)基礎研究から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施
①医薬品プロジェクト

②COVID-19への迅速な研究支援、基盤整備を実施し、臨床段階まで到達した。

- 迅速かつ安全な研究開発を推し進めるため、公募〆切から通常の半分以下の期間にて採択課題を決定。有識者や関係省庁が参加する運営委員会を立ち上げ、綿密な課題管理を実施。
- がん等の他疾患での研究成果を踏まえたPAI-1阻害剤のCOVID-19への転用などにより24課題が臨床段階まで進展。
- 「富岳」の計算結果を活用するためのCOVID-19感染症治療薬探索・評価基盤（*in vitro*薬効評価支援）等を整備し、BINDS事業でCOVID-19関連計56件の支援を実施。

■COVID-19治療薬開発状況（R3年3月末時点）

開発フェーズ	課題数	モダリティ	課題数
基礎	44	リポジショニング	15
前臨床試験	14	低分子医薬	25
第Ⅰ相試験	2	抗体・血漿療法	19
第Ⅱ相試験※	15	バイオ医薬品	9
第Ⅲ相試験	1	核酸医薬	4
		細胞療法	3
		遺伝子治療	1

※1件重複あり

③評価指標の達成に向けて顕著な進捗が見られる。

- すべての評価指標において、目標値を達成。特に、世界に先駆けた先導的な研究を含め、シーズの企業への導出40件、創薬等の効率化に資する先進手法の企業導出95件を達成するなど顕著な成果を創出。

【シーズ導出の具体例】

■がん抑制因子活性化を利用した治療耐性獲得乳がんに対する新規治療法開発

- がん抑制因子であるPHB2の抑制機能を再活性化させることを利用した世界初の治療戦略
- 分子内架橋型タンパク相互作用阻害ペプチド（ステープルドERAP）が耐性化シグナルを阻害し、治療耐性を克服することを解明

事業名：次世代がん医療創生研究事業
研究代表機関：国立大学法人徳島大学
研究期間：平成30年5月～令和4年3月

【技術導出の具体例】

■先端的な中分子創薬関連技術の開発

- オートファジーに基づく世界初のデグレーダー技術（AUTAC）を確立
- 細胞内タンパク質に加え機能不全ミトコンドリア除去を可能とした
- 研究開発の推進により、低濃度で効果を示すことにも成功

事業名：次世代治療・診断実現のための創薬基盤技術開発事業
研究代表機関：国立大学法人東北大学
研究期間：平成30年4月～令和3年3月

Ⅰ．(2)基礎研究から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施
②医療機器・ヘルスケアプロジェクト

評　定	
自己評価 a	ヘルスケア分野の研究開発について、ライフステージと開発目的に応じた研究開発と調査検討を実施し、研究開発の方向性を位置づけた。迅速かつ効果的に「ウイルス等感染症対策技術開発事業」を運営した。研究開発、環境整備ともに実用化に向けたマネジメントに注力した。 ①ヘルスケア分野を研究開発対象に位置づけた。 ②感染症対策への迅速な研究支援を実施、医療ニーズに対応し早期実用化を目指した。 ③医療機器研究成果の実用化を加速するため事業間連携や事業化を促すマネジメントを実施 ④海外展開に向けた企業支援、並びに、人材育成等の基盤を整備 評価指標の達成に向けて年度相当の進捗が見られる。以上より、全体として顕著な成果の創出や取組が認められる。

①ヘルスケア分野を研究開発対象に位置づけた

- 新たな研究開発分野であるヘルスケア分野について、次年度以降の事業運営に活用するため、ライフステージと開発目的（予防、診断、治療、予後・QOL）に応じた研究開発と調査検討、対外発信を行うなど、研究開発の方向性を定めた。

ヘルスケア研究開発の方向性（案）	
1	社会課題解決を志向
2	医療（治療）モデルから社会モデルへ転換
3	学際的な連携
4	研究開発の課題設定や仲間づくりから着手
5	行動変容の壁を乗り越える
6	産官学の連携と役割分担
7	データ、エビデンスの収集・蓄積・活用

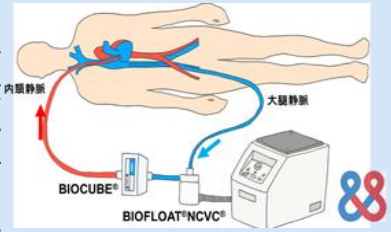
②感染症対策への迅速な研究支援を実施、医療ニーズに対応し、早期実用化を目指す取組を行った

- 「ウイルス等感染症対策技術開発事業」では、COVID-19の感染状況が拡大する中で、研究公募3回を通じて95課題を実施。PDと感染症DCが連携し、AMED全体の知見を活用。治療技術、感染拡大防止、早期・大量検査システムなど医療課題の解決に資する取り組みを実施。実フィールドでデータの取得を行い、社会実装が可能なものから順次実用化できるように支援。

ウイルス等感染症対策技術開発事業

開発例

「抗血栓性に優れ安全に長期間使用可能なECMOシステム」を用いて、新型コロナウイルスによる肺炎患者への中長期ECMO治療の安全性と有用性を検討。

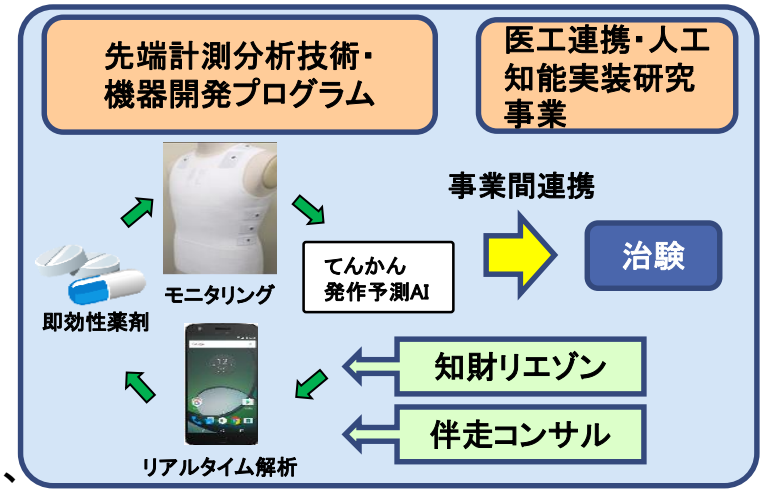


高性能新規ECMOシステム

Ⅰ．(2)基礎研究から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施
②医療機器・ヘルスケアプロジェクト

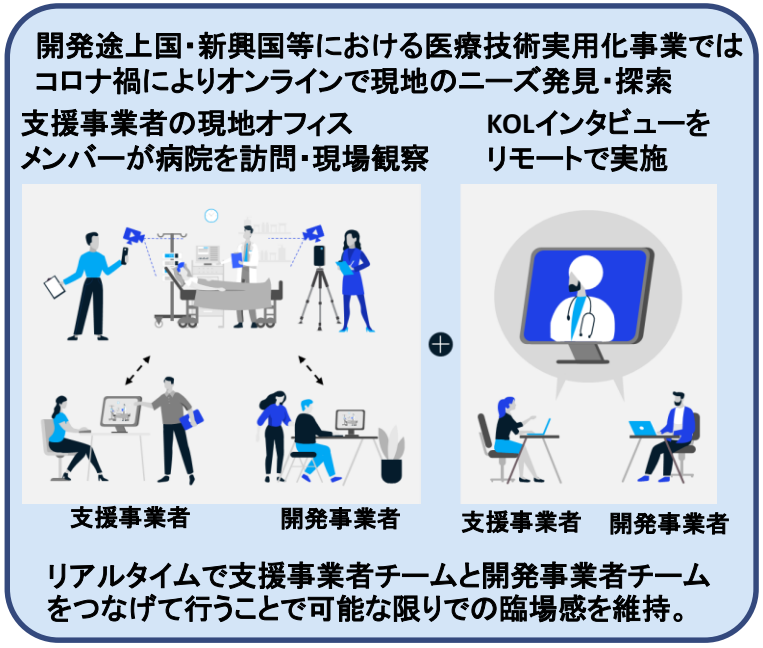
③医療機器研究成果の実用化を加速するため事業間連携や事業化を促すマネジメントを実施

- 医療分野研究成果展開事業（先端計測分析技術・機器開発プログラム）では、医療機器開発支援ネットワークで行っている伴走コンサルや、知財リエゾンを積極的に活用し、研究開発を加速。
  てんかん発作を予知するAI（ソフトウェア）開発では開発前倒しにより、要素技術から製品開発へと進み、他事業である医工連携・人工知能実装研究事業（ゲノム・データ基盤PJ）に展開した。
- 先進的医療機器・システム等技術開発事業では、PSPOの指導により、事業者自らが事業化戦略を意識するよう、マネジメントを実施。AIを用いた脳外科手術ガイドシステムの開発では、術前と術中をシームレスに連携する統合手術ガイドソフト（クラスIII）の事業化を支援し、成果の一部を活用し、機能限定版の製品の上市に目処をつけた。



④ 海外展開に向けた企業支援、並びに、人材育成等の基盤を整備

- 開発途上国・新興国等における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4件実施。コロナ禍によりオンラインで現地のニーズ発見・探索を実施。
- 新規に官民による若手研究者発掘支援事業をNEDOと連携して開始することにより、工学系含む15名の若手研究者を採択し、開発サポート機関とともに医療機器の基礎研究シーズと若手研究者を支援。
- 次世代医療機器連携拠点整備等事業で全国14拠点で1,249人の企業人材の臨床現場見学を実施。医療機器開発の加速につながる人材 のボトムアップを推進。

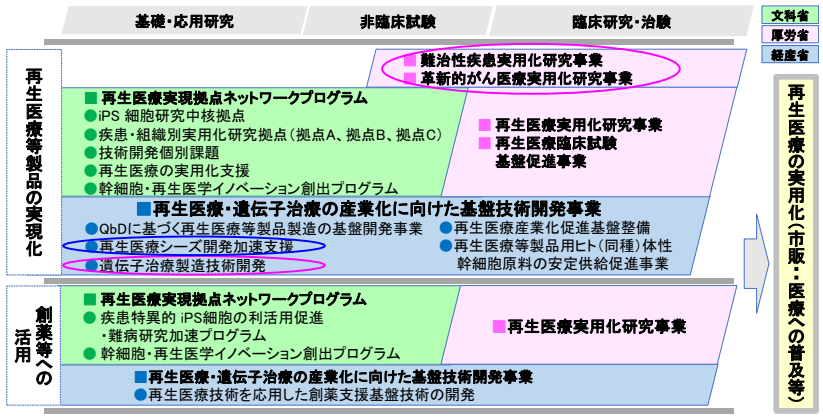


Ⅰ.(2)基礎研究から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施
③再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト

評　定	
自己評価 a	プロジェクト内外の研究者の交流や異分野の融合、新たなプログラムの策定など、再生・細胞医療及び遺伝子治療の事業間連携により、多くの課題の研究が進展するとともに、今後の展開への基盤を構築した。 ①再生医療及び遺伝子治療等の事業を一体的に運営するとともに、他事業への導出を促進。また、モダリティ共通の課題等を解決するための新規公募を開始。 ②非臨床POC取得、臨床研究及び治験への移行、企業への導出等の多くの課題が進展。 ③基礎・応用研究や非臨床研究等の裾野を拡げるプログラムへの構成の見直し。 ④評価指標の達成に向けて多くの課題が進捗。 以上より、全体として顕著な成果の創出や取組が認められる。

①再生医療及び遺伝子治療等の事業の一体的な運営や共通課題を解決する新規公募の開始

- 細胞を扱う再生医療及び遺伝子治療等の共通課題の解決や相乗効果を高めるため、研究者の交流会やシンポジウムの開催（ともにウェブ）、医工各機関が相互に発表する会議の設定など、プロジェクト内外の連携や異分野融合、社会への発信に取り組んだ。また、再生医療・遺伝子治療の産業化に向けた基盤技術開発事業（再生医療シーズ開発加速支援）において、モダリティ共通の課題等を解決するための再生医療及び遺伝子治療を一体化した新規公募（令和3年度）の仕様を決定した。
- 非臨床POC取得までを進める再生医療実現拠点ネットワークプログラムに実現化支援課題（規制・倫理）を設置。知見や経験の共有等により開発戦略の検討を効果的・効率的に支援。また、細胞を使用する製品製造の新たな基盤技術の



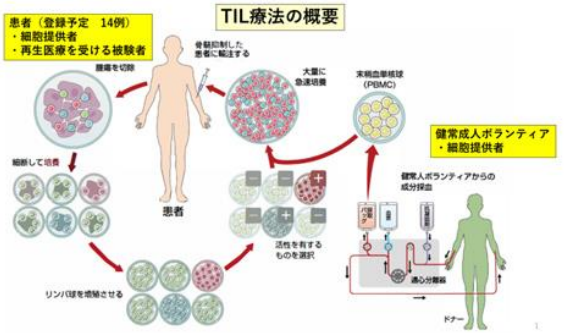
Ⅰ．(2)基礎研究から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施
③再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト

構築のため、再生医療・遺伝子治療の産業化に向けた基盤技術開発事業（QbDに基づく再生医療等製品製造の基盤開発事業）を開始した。

- 事業を跨いだ複数担当制やPSPOと協働した課題の細やかな進捗確認など、プロジェクト内外の連携を促進することにより、CiCLEやムーンショット等を含めたシーズの他事業へ導出を促進した。

②非臨床POC取得、臨床研究及び治験への移行、企業への導出が進展

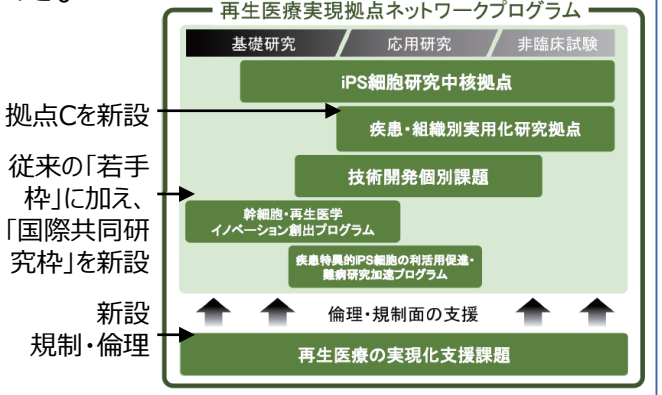
- 基礎・応用研究から非臨床POC取得、難治性疾患実用化研究事業及び革新がん医療実用化研究事業を含め、臨床研究及び治験、産業化事業への移行など、各事業をシームレスに支援し、持続的に進展させる体制を構築。疾患特異的iPS細胞の利活用促進・難病研究加速プログラムと難治性疾患実用化研究事業の連携に着手した。
- 多くの課題において臨床研究及び治験への移行、企業導出が進み、再生医療実用化研究事業においては、TIL療法が先進医療Bとして認可された。



子宮頸がんを対象とした腫瘍浸潤リンパ球輸注療法（TIL療法、国際医療福祉大・慶應大　河上）の先進医療実施

③裾野を拡げるプログラムへの構成の見直し

- 基礎・応用研究及び非臨床研究等の新たな課題を発掘するため、再生医療実現拠点ネットワークプログラム（幹細胞・再生医療イノベーション創出プログラム）に「若手枠」に加え、「国際共同研究枠」を設定。また、同（疾患・組織別実用化研究拠点）において、革新的な技術等によって次世代の再生医療等の実現を目指す拠点Cを設置した。



④評価指標の達成に向けて多くの課題が進捗

- 評価指標の達成に向けて多くの課題が進捗。特に、科学誌（IF 5以上：クラリベイト　Journal Citation Reports より集計）への論文掲載107件、治験への移行11件（うち遺伝子治療6件）、臨床研究への移行4件、企業への導出段階に至った研究9件（うち遺伝子治療5件、うち企業へ導出されたもの6件）を達成。

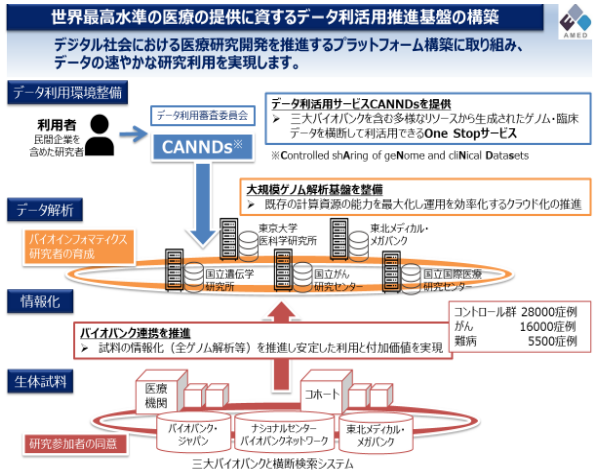
Ⅰ．(2)基礎研究から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施
④ゲノム・データ基盤プロジェクト

評　定	全ゲノム解析や多因子疾患研究に取り組みつつ、三島イニシアティブ第1弾として世界最高水準の医療の提供に資するデータ利活用推進基盤の構築に向けて計画を主導した。 ①オールジャパン体制でのデータ利活用推進基盤の構築に向けた計画を立案し、推進した。 ②品質の担保された全ゲノム解析データを我が国最大規模で集積する体制を構築した。 ③AMEDが支援するバイオバンク等により、多因子疾患に関する国際共同研究を推進した。 ④評価指標の達成に向けて顕著な進捗が見られる。 以上より、全体として顕著な成果の創出や取組みが認められる。
自己評価 a	

①三島イニシアティブとしてオールジャパン体制でのデータ利活用推進基盤の構築に向けた計画の立案・推進

世界最高水準の個別化医療を国民に提供すべく、これまでなしえなかった国内の主要なスパコン拠点の連携を実現し、オールジャパン体制で推進する利活用基盤の構築を主導した。

- 国内の主要なスパコン拠点を連携させることで、その計算能力を最大化するとともに、プライバシー保護が担保されたセキュアな解析環境を備えた大規模ゲノム解析基盤を構築した。
- データシェアリングをさらに推進すべく、ゲノムデータの公開・共有に関する方針を明確化し、その運用体制を強化するためデータシェアリングポリシーの改訂案を策定した。
- 設計に際しては、外部の研究者や企業など想定される幅広いユーザーに対してヒアリングを行い、ニーズを踏まえながらその基盤整備を行った。
- 利活用の対象をゲノム以外のデータにも広げ、AMEDが支援する研究開発から生み出されたデータを最大限に利活用するプラットフォームの構築案を短期間で具体的に策定した。



データの利活用プラットフォーム構築に向けた取組

Ⅰ．(2)基礎研究から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施
④ゲノム・データ基盤プロジェクト

②品質の担保された全ゲノム解析データを我が国最大規模で集積する体制を構築

より良いゲノム医療を推進すべく、解析結果の均質性を担保しながら以下の全ゲノム解析を着実に推進した。

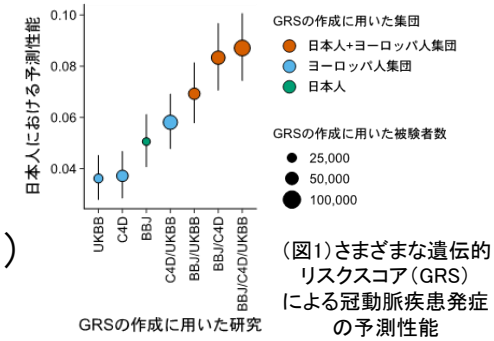
- コントロール群は、研究者間の協議をとりまとめて詳細な解析プロトコルを決定し、指定された条件にて全データの解析を進め、我が国で最大規模となる約2.25万人の全ゲノム解析を実施した。
- がんは、コントロール群と同じ解析プロトコルで遺伝性腫瘍約3,000症例の全ゲノム解析結果を集積した。
- 難病は、3領域8課題の研究支援を加速することに加え、「難病のゲノム医療推進に向けた全ゲノム解析基盤に関する研究開発」研究班を立ち上げ、品質の担保された検体及び臨床情報を確実に蓄積し、先行解析の円滑な実施及び本格解析ための体制を確立した。

③AMEDが支援するバイオバンク等の利活用により、多因子疾患に関する国際共同研究を推進

- バイオバンク・ジャパンや東北メディカル・メガバンク機構等のバイオバンク・コホートにより、 日本人集団20万人・東アジア人集団40万人の大規模GWAS（疾患症例数 世界最大）を主導し、新規に96の2型糖尿病と合併症の感受性領域を同定した（*Nature 2020*）。
- 国際共同研究グループでバイオバンク・ジャパンのゲノムデータを用い、日本人約17万人のゲノムワイド関連解析を行い、48の冠動脈疾患に関わる疾患感受性座位を同定した（*Nat. Genet 2020*）。ヨーロッパ人集団のデータに日本人のデータを加えることで、高い予測性能を示すGRSの作成に成功した。（図1）

④評価指標の達成に向けて顕著な進捗

- 研究成果の科学誌（IF5以上）への論文掲載件数：217件（評価指標： 180件/年）
- 新たな疾患発症メカニズム解明件数：15件（評価指標：2件/年）
- シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数：24件（評価指標：5件/年）
- 臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数：4件（評価指標：3件/年）



（図1）さまざまな遺伝的リスクスコア（GRS）による冠動脈疾患発症の予測性能

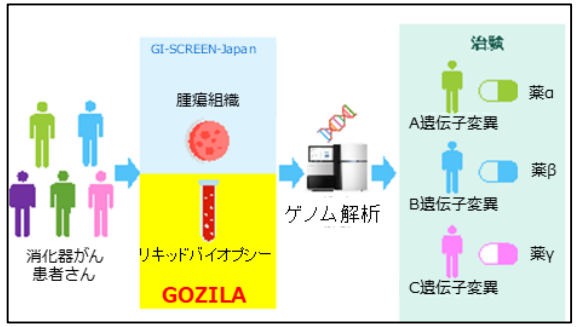
Ⅰ．(2)基礎研究から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施
⑤疾患基礎研究プロジェクト

評　定	複数の疾患に共通する課題の研究開発を戦略的に推進し、臨床研究と基礎研究を連携させる「双方向トランスレーショナル研究（TR）」の枠組み構築を目指し、より大きな成果の一刻も早い創出、実用化を実現するための基盤を強化した。 ①顕著な研究開発成果の創出と様々な病態・疾患への展開 ②事業間連携により、戦略的に複数の疾患に共通する課題の研究開発を推進 ③若手研究者育成の先進的枠組みの創設 ④統合プロジェクトの下支えとなる、臨床上の課題を取り込んだ研究開発の基盤の構築と強化 ⑤評価指標の達成に向けて顕著な進捗が見られる 以上より、全体として特に顕著な成果の創出や取組みが認められる。
自己評価 S	

①顕著な研究開発成果の創出と様々な病態・疾患への展開

成果事例：リキッドバイオプシーによるゲノム解析の臨床的有用性を証明

- 消化器がんを対象とした治験のスクリーニング検査として、血液を用いたリキッドバイオプシーにおいて、腫瘍組織検査と比較して、治験登録までの期間が5.9 ヶ月から1 ヶ月に大幅に短縮されること等の有用性を証明。
- さらに、追加支援を実施して様々ながん病態や他がん種にも適用可能ながん診断法の創出に向けて展開。（右図）



	リキッドバイオプシー	腫瘍組織検査
治験標的の同定	54 %	57 %
治験登録	9.5 %	4.1 %
治験参加までの期間	1ヶ月	5.9ヶ月

成果事例：グルタミン代謝酵素（GLS1）阻害は加齢現象や老年病を改善

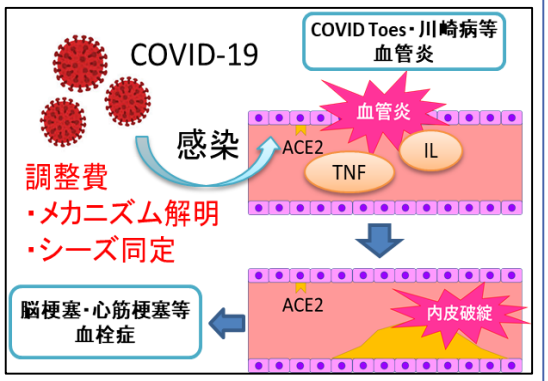
- GLS1阻害剤がマウスの老化細胞を選択的に除去することを明らかにした。老化細胞の除去による革新的抗加齢療法の開発への貢献が期待される。
- さらに、研究開発を推進してGLS1が関わる、「がん」を含めた老年病や生活習慣病、肝炎の発症メカニズム等の分子基盤の解明に向けて展開。

事業名：革新的がん医療実用化研究事業
研究代表機関：国立がん研究センター
研究期間：平成３０年４月～令和３年３月

Ⅰ．(2)基礎研究から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施
⑤疾患基礎研究プロジェクト

②戦略的に複数の疾患に共通する課題の研究開発を推進

- 循環器疾患と免疫疾患の異なる疾患領域において、COVID-19による血管炎という共通する課題に着目して合同公募を実施。生活習慣病領域では、これまで申請数や採択数が少なかった血管分野の支援につながり、従来の疾患研究の枠組みを超えた、横断的疾患基礎研究の基盤を強化。(右図上段)



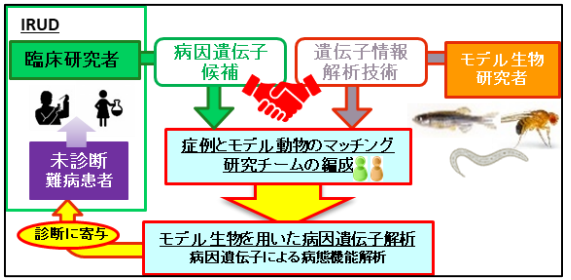
事業名　：免疫アレルギー疾患実用化研究事業、循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業

③若手研究者育成の先進的枠組みの創設

- 従来の「若手枠」は予算規模が小さく研究提案内容が限定される傾向にあったため、脳科学分野における新たな取組として下記の採択枠組みを導入。
  - ➢ 若手研究者と一般研究者を区別せずに共通の公募を実施。
  - ➢ 採択課題数の3割の課題については、若手研究者から優先して採択。

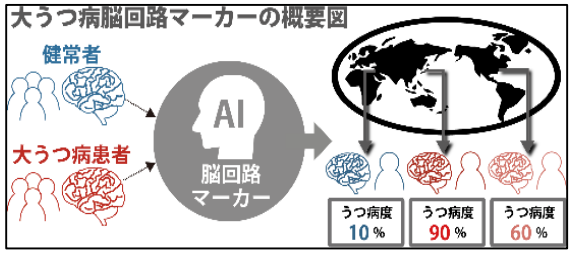
④臨床上の課題を取り込んだ研究開発の基盤の構築と強化

- 令和3年度から開始する精神・神経疾患分野の事業において、本統合プロジェクトの推進方針の実現に向け、下記の取組みを実施。
  - ➢ リバース及びフォワードの双方向TRを促進することを事業目標に掲げ公募を実施し、新たな循環型研究開発の枠組みを構築。



事業名：難治性疾患実用化研究事業
研究代表機関：国立遺伝学研究所
研究期間：令和2年4月～令和5年3月

- 希少未診断疾患のメカニズム解析の強化に向けて下記の新たな取組みを行い、マッチング目標1年30件を超える41件を達成。(右図中段)
  - ➢ 成果報告会を開催して臨床研究者とモデル生物研究者の連携を促進し、マッチングシステムを強化。



事業名：戦略的国際脳科学研究推進プログラム
研究代表機関：国際電気通信基礎技術研究所
研究期間：平成30年6月～令和6年3月

⑤評価指標の達成に向けて顕著な進捗が見られること

- 科学誌(IF 5以上)への論文掲載:349件 【80件／年】
- シーズの導出件数 :3件 【2件／年】(導出事例:右図下段)

Ⅰ.（2）基礎研究から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施
⑥シーズ開発・研究基盤プロジェクト

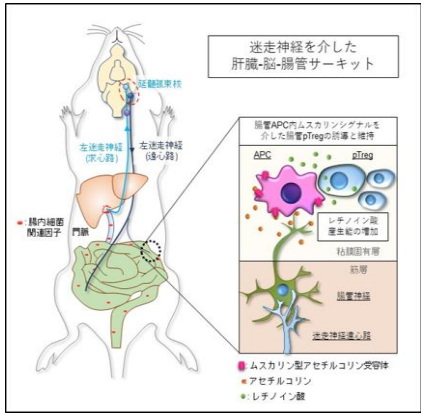
評　定	革新的シーズ創出においてプロジェクト内外での事業間連携を進めるとともに、複数の臨床研究基盤事業で連携し専門人材育成を含め国内外での臨床研究基盤の充実・整備を進めた。
自己評価 a	①シーズの創出・育成等において、他事業との連携を進め、画期的な研究成果を発表した。 ②COVID-19国際共同研究の緊急公募等を通じ国内外の研究ネットワーク構築に貢献した。 ③革新的医療技術創出拠点での実用化推進に向け、拠点連携の仕組みを新たに構築した。 評価指標の達成に向けて年度相当の進捗が見られる。以上より、全体として顕著な成果の創出や取組が認められる。

①革新的先端研究開発支援事業において、アカデミアの組織・分野の枠を超えた研究体制を構築し、新規モダリティの創出に向けた画期的なシーズの創出・育成等の基礎的研究を実施

- 革新的先端研究開発支援事業と他事業（慢性の痛み解明研究事業、老化メカニズムの解明・制御プロジェクト、成育疾患克服等総合研究事業）で相互にPSPOや研究者が交流・情報交換したほか、他事業での成果であるモデル動物や解析技術を活用するなど、事業間連携を行った。

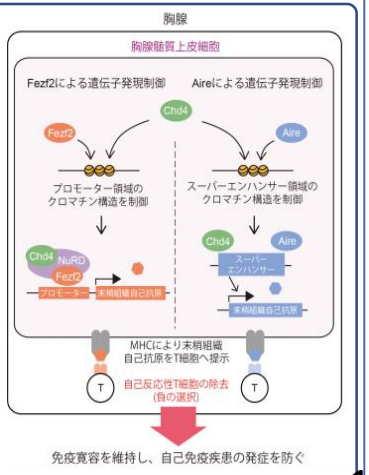
腸管からの腸内細菌情報を肝臓で統合し脳へ伝え、迷走神経反射によって腸管制御性T細胞の産生を制御する機構が存在することを世界で初めて明らかにした。

- AMED-CREST微生物叢領域
- 慶應義塾大学・金井隆典教授ら
- 2020年6月「Nature」に掲載



クロマチン制御因子Chd4が自己免疫疾患に関わる自己抗原の発現を制御するタンパク質で、Chd4は自己抗原を誘導するタンパク質Fezf2とAireの双方へ働きかけることを明らかにした。

- AMED-CREST適応・修復領域
- 東京大学・高柳広教授ら
- 2020年6月「Nature Immunology」に掲載



Ⅰ．(2)基礎研究から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施
⑥シーズ開発・研究基盤プロジェクト

②COVID-19国際共同研究の緊急公募等を通じ国内外の研究ネットワーク構築を推進

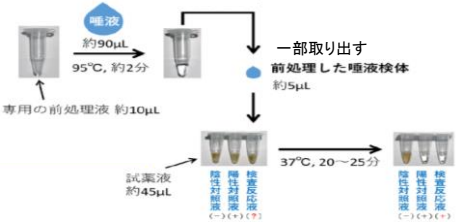
- 全米医学アカデミー(NAM)主催のHealthy Longevity Grand Challengeプログラムに橋渡し研究戦略的推進プログラム、Interstellar Initiative等での若手PIからアイデア44件を選定した。
- 日米医学協力計画のアジアにおけるCOVID-19国際共同研究の緊急公募に当たり、e-ASIA共同研究プログラムの仕組み活用により短期間で9件の応募があり、特に優れた4件を採択した。

日米医学協力によるe-ASIA
ｺﾛﾅｳｲﾙｽ感染症緊急公募参加

③革新的医療技術創出拠点(全13拠点)における基礎研究の成果を一貫して実用化に繋ぐ体制を構築(企業導出47件、製造販売承認申請11件を達成)

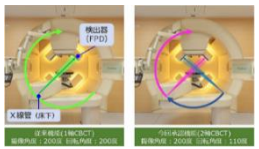
- 拠点調査会議に他拠点が参加することで、拠点の特色や直面する課題を共有する仕組みを構築した。
- 橋渡し研究支援拠点と臨床研究中核病院が連携してシーズ開発を途切れず支援でき、またプロジェクトマネージャー等の専門人材育成を含め臨床研究基盤の充実が図れるよう関係省庁及び大学等と調整して事業を推進するとともに、拠点内外の人材開発や多職種連携ネットワーク形成促進を目指した研究開発推進ネットワーク事業の開始に向け公募を実施した。
- 卒後教育等を充実させたR3年度以降の生物統計家育成推進事業に係る公募を実施し、2課題を採択した。

革新的核酸増幅法(SATIC法)を開発。唾液などのサンプルから25分の反応で検出機器を必要とせず目視で判定できるCOVID-19迅速診断法を共同開発し、塩野義製薬に導出した。

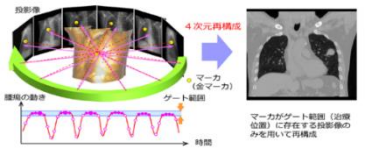


事業名:橋渡し研究戦略的推進プログラム　橋渡し研究支援拠点:慶應義塾大学
日本大学の桒原正靖教授と東京医科大学の河島尚志教授の研究チーム

新たな高精度陽子線治療のための2軸CBCT機能及び2軸四次元CBCT機能を開発し、令和2年9月製造販売承認を取得。CBCT撮影の高速化及び動く部位における腫瘍と周辺の正常組織の鮮明な三次元画像の取得が可能になった。



2軸CBCTの概要



4次元CBCTの概要

事業名:橋渡し研究戦略的推進プログラム　橋渡し研究支援拠点:北海道大学
北海道大学の清水伸一教授らと日立製作所の共同研究

Ⅰ．(3)基金等を活用した中長期的な研究開発の促進等

①政府出資を活用した産学官共同での医薬品・医療機器の研究開発の促進等、②健康・医療分野におけるムーンショット型研究開発等、③新型コロナウイルスワクチンの開発支援

評　定	
自己評価 A	①スタートアップ型ベンチャー企業の支援にも力を入れるとともに、課題進捗や開発品を取り巻く情勢変化に応じてきめ細かい支援を行った。 ②令和2年7月の目標7決定後、他目標より後発の立上げとなったが、先行FAの運用事例の効果的な活用、また関係府省、PDとの緊密な連携・調整により公募・採択・資金配分等を令和2年度中に短期間（約7か月）で完了したことで、令和3年4月から研究開始できる体制を構築した。 ③COVID-19のパンデミックという突発的に発生した事案に対して、AMEDの支援体制を可及的速やかに構築し、コロナワクチンの開発･実用化推進のために伴走的支援及び機関連携強化･促進のための研究協力機関の仲介等を主体的に進めている。 評価単位（Ⅰ．(3)基金等を活用した中長期的な研究開発の促進等）における項目別の自己評価は以下のとおりであり、本評価単位として、下記（※）に基づき、A評価とする。

（※）第2期中長期目標期間における国立研究開発法人日本医療研究開発機構の業務実績に関する評価要領（案）に基づく自己評価ランク

第2期中長期目標_項目		自己評価	右記に基づく点数	（※）評価要領（案）抜粋
Ⅰ．(3)基金等を活用した中長期的な研究開発の促進等		A	3	**(1)点数化** 項目別評定評定結果を次のとおり点数化する。 s：4、a:3、b:2、c:1、d：0 **(2)平均値の算出** (1)による評価単位の点数を平均し、上位の項目の点数を算出する。 **(3) ランク付け** (2)で算出した点数を次のとおりランク付けし、ランクに対応する評定を主務大臣評価とする。 3.5以上　　：S 2.5以上3.5未満：A 1.5以上2.5未満：B 0.5以上1.5未満：C 0.5未満　　：D
項目別評定	①政府出資を活用した産学官共同での医薬品・医療機器の研究開発の促進等	a	3	
	②健康・医療分野におけるムーンショット型研究開発等	a	3	
	③新型コロナウイルスワクチンの開発支援	a	3	

Ⅰ．(3)基金等を活用した中長期的な研究開発の促進等
①政府出資を活用した産学官共同での医薬品・医療機器の研究開発の促進等

評　定	医療研究開発革新基盤創成事業（CiCLE）において、AMEDが技術リスクの一部を負担する大規模かつ長期の返済型資金を提供することにより、革新的な医薬品・医療機器等の実用化に向けた研究開発や、実用化の加速化等を革新する基盤の形成を推進した。スタートアップ型ベンチャー企業の支援にも力を入れるとともに、課題進捗や開発品を取り巻く情勢変化に応じてきめ細かい支援を行った。 ①通常課題の審査・採択に加え、COVID-19対策課題の迅速審査・早期採択を実現した。 ②支援先企業に対するテーラーメイドの伴走支援を実施し、2課題を実用化に繋げた。 ③新規公募に向け、これまでの採択実績を総括し、CiCLEの継続性を考慮した制度改正を行った。 以上より、全体として目標達成に向けて顕著な進捗、取組が認められる。
自己評価 a	

①通常課題の審査・採択に加え、COVID-19対策課題の迅速審査・早期採択を実現した。

- 通常課題に先立ち、2回のCOVID-19対策課題の公募を行い、課題評価委員の協力を得て、通常公募の約4割の期間で審査・採択を行った。
- COVID-19対策課題の迅速審査における公正性及び厳格性を担保するため、特に感染症分野等の専門委員を補充し、評価体制を強化した（計130名以上）。
- 将来のパンデミック発生に備え、これに対応する基盤構築の課題も採択した。
- CiCLEにおけるAMED他事業の研究成果橋渡し先機能を更に強化するため、CiCLEへの応募を働きかけるなど、AMED内の連携を進めた。

	新型コロナ1次	新型コロナ2次	通常
申請数	4	12	56
採択数	1	2	14
金額	約62億円	約11億円	約247億円

※うちスタートアップ型（ViCLE）採択は新型コロナ2次：2件、通常：9件

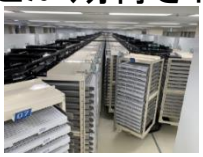
Ⅰ．(3)基金等を活用した中長期的な研究開発の促進等
①政府出資を活用した産学官共同での医薬品・医療機器の研究開発の促進等

②支援先企業に対するテーラーメイドの伴走支援を実施し、2課題を実用化に繋げた。

- 課題の進捗を把握しつつ、状況に応じた個別具体的な伴走支援を実施した。特にスタートアップ型（ViCLE）課題を中心に、薬事・知財・財務・資金調達・マーケティング等の支援を実施した。
- 複数回に及ぶ現地調査・進捗会議による実用化を見据えたアドバイスや、海外動向・技術動向・市場調査による実用化推進のための情報提供等を行い、2課題を実用化に繋げた。

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）

創薬ライブラリー構築を達成した。より多くの製薬企業が本施設を利用し、「All Japan 創薬ライブラリー」を構築することで、アカデミアを含む研究組織が本創薬ライブラリーを有効利用できるようになることが期待される。


自動原末保管庫（室温）

自動溶液保管庫（−20℃）

除湿エリア（湿度30%以下）

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）

計画を上回る規模のPDXライブラリーを構築し、がん医療・医薬品開発に活用するための基盤整備を達成した。本事業の成果を継続的に発展させてサステナブルな創薬支援事業として成長することが期待される。

③新規公募に向け、これまでの採択実績を総括し、CiCLEの継続性を考慮した制度改正を行った。

- 新規公募（第6回）において、事業の継続性を維持するため、これまでの採択実績を総括し、主に右表の変更を行った。
- また、手続きの透明性確保のため、中止及び重大な計画変更を中間評価の対象と位置づけ、評価委員会で評価することとした。

公募	成果利用料対象	成果利用料率	目標未達時の返済割合
第5回	イノベーション創出環境整備タイプ及び他者シーズがある課題が対象（難病、希少疾病用医薬品等、AMR、小児医薬品は除く）	売上の1%	一般型：委託費の10% ViCLE：委託費の10%
第6回	全ての課題が対象（難病、希少疾病用医薬品等、AMR、小児医薬品は除く）	売上の3%	一般型：委託費の25% ViCLE：委託費の10%

Ⅰ.(3)基金等を活用した中長期的な研究開発の促進等
②健康・医療分野におけるムーンショット型研究開発等

評　定	令和2年7月の目標7決定後、他目標より後発の立上げとなったが、先行FAの運用事例の効果的な活用、また関係府省、PDとの緊密な連携・調整により公募・採択・資金配分等を令和2年度中に短期間（約7か月）で完了したことで、令和3年4月から研究開始できる体制を構築した。 ①ムーンショット事業に相応しいAMED初の取組により公募を実施したところ、想定を大幅に超える86件の応募があり、研究開発構想の実現が大いに期待できる5名のPMを採択した。 ②PD支援体制について、分野横断的専門家をアドバイザーとして構成した。 ③採択後、PD及び関係府省との緊密な連携によりポートフォリオを構築し、研究計画の作り込み・研究資金の適正配分を短期間で調整したことで、令和2年度内に研究開始体制を構築した。 以上より、全体として目標達成に向けて顕著な進捗、取組が認められる。
自己評価 a	

①ムーンショット事業に相応しいAMED初の取組により公募を実施したところ、想定を大幅に超える86件の応募があり、研究開発構想の実現が大いに期待できる5名のPMを採択した。

- ムーンショットプログラムディレクター（PD）及びプログラムマネージャー（PM）採択評価に関する諸規程の整備により、PDを1名配置したうえで、PM採択のため、分野横断的専門家による外部評価委員会を設置した。
- ムーンショット独自の取組（PD主導によるWEBでの公募説明やPDメッセージ（募集・選考方針）の配信、多分野・異分野融合の広範で挑戦的な公募条件の設定等）によりPM公募を行い、他のムーンショット目標の中で最多の86件の応募があり、このうちPM5名を採択した。
- 従来の評価手法にとらわれない挑戦的で斬新な評価基準を新たに取り入れ、外部有識者（分野横断的専門家）による書面審査・ヒアリング審査を行い、医学・薬学に留まらない幅広い分野を融合した研究開発を推進できる5名のPMを採択候補に選出した。その後、PDと研究開発の進め方やプロジェクト構成の考え方等を作成し、関係府省との緊密な連携のもと 、円滑な事業運営の基盤を整備した。

Ⅰ.(3)基金等を活用した中長期的な研究開発の促進等
②健康・医療分野におけるムーンショット型研究開発等

②PD支援体制について、分野横断的専門家をアドバイザーとして構成した。

- 数理や工学など専門的立場からPDやプログラムに助言等行う、アドバイザー（科学技術調査員）4名を新たに委嘱し、PD支援体制を構築した。

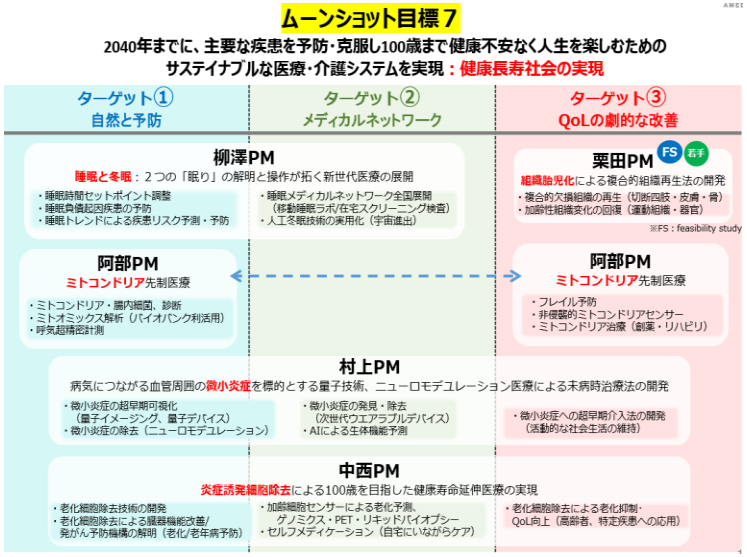
③採択後、PD及び関係府省との緊密な連携によりポートフォリオを構築し、研究計画の作り込み・研究資金の適正配分を短期間で調整したことで、令和2年度内に研究開始体制を構築した。

- 採択後、PDによりポートフォリオ案※を構築し、研究計画の作り込みにおいて、PDとアドバイザー、全PMとのキックオフミーティングを行い、目標7全体での連携・加速する体制の構築を進めた。

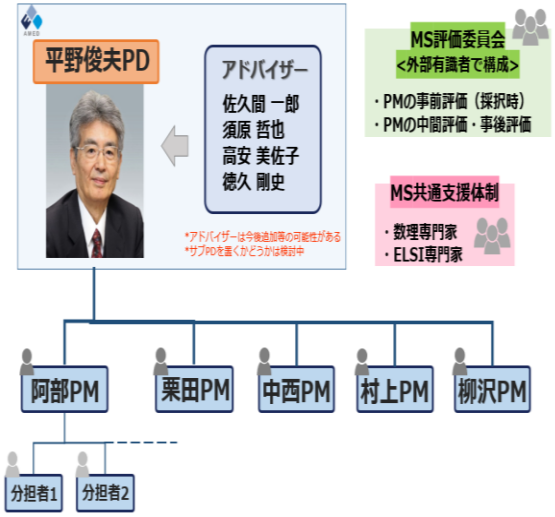
※「ムーンショット型研究開発制度の運用・評価指針」（令和2年7月13日制定）による、プロジェクトの構成（組み合わせ）や資源配分等の方針をまとめたマネジメント計画

- ムーンショット全体の連携として、CSTIや他FAと関係府省との隔週の定例会に参加して情報共有するとともに、データマネジメント、国際連携、ELSI、数理などの観点を含めAMED内関係部署と連携した。

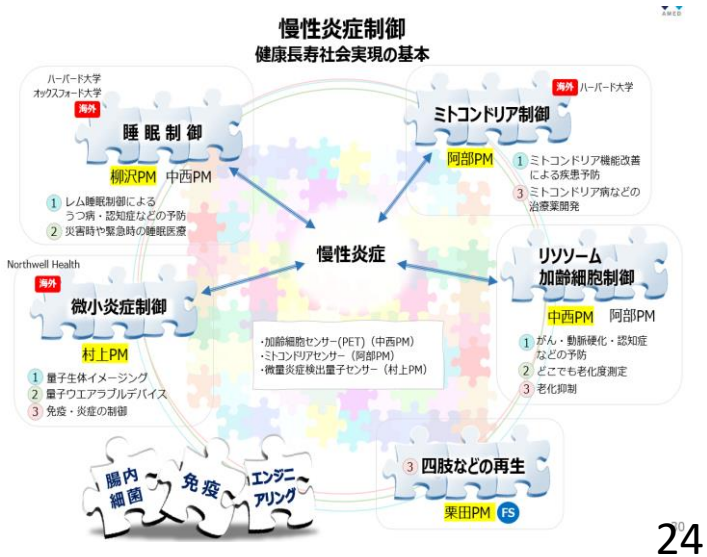
①採択PM（ターゲット構成）



②PD支援体制



③ポートフォリオ（プロジェクト構成）

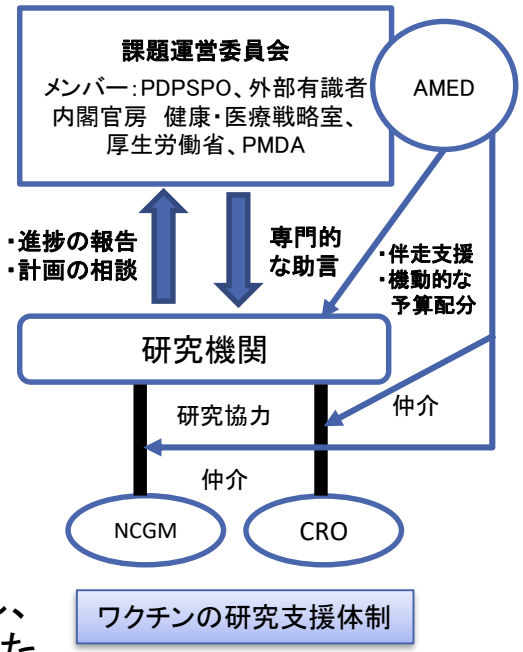


Ⅰ．(3)基礎等を活用した中長期な研究開発の促進等
③新型コロナウイルスワクチンの開発支援

評　定	COVID-19のパンデミックという突発的に発生した事案に対して、AMEDの支援体制を可及的速やかに構築し、コロナワクチンの開発･実用化推進のために伴走的支援及び機関連携強化･促進のための研究協力機関の仲介等を主体的に進めている。 ① 課題運営委員会の設置等、必要な推進体制を整備した。 ② 速やかに支援を開始し、細やかな進捗管理により、臨床段階まで到達した。 以上より、全体として目標達成に向けた顕著な進捗、取組が認められる。
自己評価 a	

①課題運営委員会の設置等、必要な推進体制を整備した。

- PDPSPOやワクチン開発に係る外部有識者を構成員とし、内閣官房健康･医療戦略室、厚生労働省、PMDAがオブザーバーとして参加する課題運営委員会を設置し、規制に則し科学的に妥当な研究開発に向け、きめ細やかに進捗を把握･管理し、機動的な課題管理･運営を行うための体制を構築した。
- 厚生労働省から密にワクチン関連施策の情報提供を受けることで、迅速かつ適切な支援を可能とする政府一体になった支援を実施した。
- ワクチン開発段階から規制に関してPMDAの助言が受けられるようPMDAと連携した課題管理体制を構築し、実用化までの時間短縮を図った。
- 国内での実施が不可能であったBSL3の動物試験に対し、海外委託先を開拓し、複数の研究機関へ紹介するなど開発体制を強化することで開発推進に貢献した。



ワクチンの研究支援体制

- 国立国際医療研究センター(NCGM)と協力して、研究の進展に必須な研究試料（患者の血清サンプルなど）を複数の研究機関が共有できるよう機関連携強化の整備をおこない、迅速な試験の実施に貢献した。

Ⅰ．(3)基礎等を活用した中長期な研究開発の促進等
③新型コロナウイルスワクチンの開発支援

②速やかに支援を開始し、細やかな進捗管理により、臨床段階まで到達した。

- AMED内手続きを迅速に進めることで、「COVID-19に対するワクチン開発」に係る公募について、公募〆切りから通常の半分以下の期間（1ヶ月）にて採択課題を決定し、速やかに研究支援を開始した。
- 多様なモダリティをカバーし、研究開発の幅を広げることで、実用化の可能性を高めた。
- 様々なエキスパートで構成された課題運営委員会を定期(4回)開催し、進捗状況を把握し、科学的かつ規制的な観点から適宜研究者に助言等を実施するなど伴走支援をおこなうことで、実用化を加速させた。
- PMDAと随時の情報交換に加えて、2ヶ月に1回程度会議を開催し、規制当局の考え方を取り込みながら適切な支援を実施した。
- これまでAMEDの他の事業で培った経験を活かし、研究者とPMDAとの相談へのサポートを実施し、円滑な相談に結びつけた。
- 上記取組を通じて、採択した企業主導型7課題のうち6課題がすでに臨床試験に着手しており、実用化に向け、着実に成果が出ている。
- 課題運営委員会の設置をはじめとして、必要な支援体制を速やかに整備するとともに、採択手続きを迅速に進め、適切な進捗管理を行うことで研究の進展が認められる。

	採択数
企業主導型	7件
アカデミア主導型	4件

主なワクチンのモダリティ

- mRNA
- DNA
- 不活化
- 組換えタンパク
- RNA（レプリコン）
- ウイルスベクター

Ⅰ．(4)疾患領域に関連した研究開発

評　定	現在及び将来の我が国で社会課題となる7つの疾患領域ごとに配置した疾患領域コーディネーター（DC）のもとで、AMSを用いて各疾患領域の課題数や予算を把握するなど、統合プロジェクトを横断する形で柔軟なマネジメントができるよう体制を構築した。 各疾患領域に関連した研究開発を推進し、たとえば、難病領域では、再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクトと連携した遺伝子治療用ベクターの製造や、がん領域では、個別化医療に資する診断・治療の研究を推進し、血液を用いた生体材料検査の臨床有用性の証明などの研究成果を創出した。その他の疾患領域においても研究開発を推進した。 以上より、全体として目標達成に向けて顕著な進捗、取組が認められる。
自己評価 A	

①統合プロジェクト横断的に疾患領域の研究を柔軟にマネジメントができる体制の構築

- 各疾患領域に深い知見等を有するDCを新たに配置し、個別面談及び全体会議を各1回以上開催するとともに、PDや疾患関連事業のPSPOとDCとの意見交換等も実施した。（再掲）
- AMSデータ約2,500件に疾患領域をタグ付し、各疾患領域の予算規模や研究開発の状況等を把握した。
- 疾患領域とりまとめ（疾患調査役）をAMED職員から任命し、複数の統合プロジェクトにまたがる疾患関連事業では、関係部課の必要な権限を担当に付与して縦横で円滑に連携できる体制をPSPOの下で構築し、複線化した意思決定ルートの効率化等の工夫を重ねた。（再掲）

②疾患領域に関連した研究開発を省庁との連携や各統合プロジェクトとの協力を図りつつ推進

- 難病領域では、厚生労働省難病対策課と密に連携してマネジメントを推進するとともに、再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクトと協力し、遺伝子治療用ベクター製造に関する研究開発を推進した。（Ⅰ（2）③参照）
- がん領域では、個別化医療に資する診断・治療の研究を推進し、血液を用いた生体材料検査（リキッドバイオプシー）の臨床有用性の証明などの成果を創出した。その他、感染症、生活習慣病、精神・神経疾患、老年医学・認知症、成育の領域においても中長期計画に沿って研究開発を着実に推進した。

Ⅱ．業務運営の効率化に関する事項

(1)業務改善の取組に関する事項　1) 組織・人員体制の整備、2) PDCAサイクルの徹底、3)適切な調達の実施
4)外部能力の活用、5)業務の効率化、(2) 業務の電子化に関する事項

評　定	
自己評価 B	①効果的な研究費の運用のため、COVID-19関連対応として「在宅勤務時の人件費の計上」を認めた。また、例年を大幅に上回る「研究費の繰越や研究期間の延長」に適切に対応すべく、早期に関係省庁と協議し、申請様式の統一化などを行った。 ②「調達等合理化計画」に基づき、感染拡大防止を考慮し、郵便による入札を推進した。また、Web会議システムを用いて、入開札の透明性を確保した。 ③モバイル端末の充実、Web会議環境の改善など、コロナ禍においても業務が滞ることがないよう、業務の電子化を推進した。 以上より、全体として目標達成に向けて着実な進捗、取組が認められる。

①-1 効果的な研究費の運用（COVID-19対応）

- 「在宅勤務時の人件費計上を認める」こととし、研究進捗に影響がでないようにした。
- 例年を大幅に上回る「研究費の繰越や研究期間の延長」に適切に対応すべく、早期に関係省庁と協議し、申請様式の統一化や申請時期を分散するための事前協議の導入などを行った。

①-2 一般管理費等の削減による業務の効率化

- 運営費交付金を充当して行う業務について、効率化を達成した。

一般管理費	:令和元年度予算額に対し4.5%を効率化
事業費	:令和元年度予算額に対し8.3%を効率化

②「調達等合理化計画」に基づく取組の実施

- 一者応札改善のため、参加者確認公募および郵便等による入札を活用した。
- 感染拡大防止の観点から、郵便入札を推進した。入開札をWeb会議システムで公開した。
- 競争性のない随意契約割合が昨年度比較で改善した。

	元年度	2年度	差異
契約実績総数（4,229件）に占める競争性のない随意契約の割合	21.8%	19.1%	2.7ポイント低下
調達契約総数（944件）に占める競争性のない随意契約の割合	87.4%	85.7%	1.7ポイント低下

Ⅱ．業務運営の効率化に関する事項

(1)業務改善の取組に関する事項　1) 組織・人員体制の整備、2) PDCAサイクルの徹底、3)適切な調達の実施
4)外部能力の活用、5)業務の効率化、(2) 業務の電子化に関する事項

③業務の電子化による業務の効率化

- 役職員と派遣職員が効率よく在宅勤務できるよう、全ての執務用端末のモバイル化を実施した。
- Web会議需要の急増に対応するため、Web会議のライセンス追加調達、ネットワークの再設計により、Web会議の環境を改善した。
- 上記のとおり、震災等の災害時にも業務を継続しやすい基盤を整備した。

④組織・人員体制について適切に対応

- 統合プロジェクトを担当する部を設置、事業横断的な事項に対応する「研究開発統括推進室」を設置する等の組織再編を実施した。
- 組織改編時、年度を通して、適切かつ柔軟な人員体制の整備を実施した。
- 統合プロジェクト を横断する形で、各疾患領域を担当する疾患領域コーディネーター(DC)を新設した。

⑤PDCAサイクルを徹底、業務改善を実施

- 令和元年度の業務実績評価における指摘事項等を踏まえ、以下の業務改善を実施した。

（具体例）

- ➢年度計画達成に向け、機構内(「業務と予算に関する会議」等)で定期的に業務の進捗状況の把握・管理、課題抽出及び改善を図った。
- ➢理事長－各部室の意見交換を実施し、課題の抽出、組織基盤強化に向けた検討を開始した。
- ➢職員の確保・育成方策等についての基本方針を策定した。
- ➢マスメディア等を通じた積極的な広報活動を実施した。

⑥外部能力を活用した業務の効率化

- 研修(教材作成、運営等)、相談(法律相談、コンサルティング等)など、計447件の外部委託等を実施。業務を効率化し、限られた人員で業務を遂行した。

Ⅲ. 財務内容の改善に関する事項

（1）運営費交付金の適切な執行に向けた取組、（2）保有資産の処分等

評　定	①運営費交付金債務の減少に向けた取組を着実に実施した。 ②AMEDが保有する資産の有効活用を着実に推進した。 以上より、全体として目標達成に向けて着実な進捗、取組が認められる。
自己評価 B	

①運営費交付金債務の減少に向けた取組の実施

- 各部署の予算執行状況を共有して早期執行を促すとともに、執行状況に応じた予算の配分調整を行い、業務の円滑な実施に柔軟に対応した結果、令和2年度末の運営費交付金債務残高は373百万円となった。システムの更新・改修に係る経費の繰越が主な発生要因である。

②AMEDが保有する資産の有効活用を着実に推進

- 研究機関が使用するAMED保有の研究機器について、研究開発期間終了後、大学等の公的機関には無償譲渡、企業等には無償貸借を行い、研究機器の有効活用を推進した。
- 不要財産の国庫納付及び重要財産の処分については、実績なし。

Ⅳ. その他業務運営に関する重要事項

（1）内部統制に係る体制の整備（2）コンプライアンスの推進（3）情報公開の推進等
（4）情報セキュリティの推進（5）職員の意欲向上と能力開発

評　定	
自己評価 B	①職員の意欲向上と能力開発等について様々な取り組みを実施した。 ②AMEDの取組等に関する情報公開について、積極的に推進し実施した。 ③内部統制に係る体制の整備やコンプライアンスの推進について、着実に実施した。 ④情報セキュリティ対策を推進するため、教育・研修を着実に実施した。 以上より、全体として目標達成に向けて着実な進捗、取組が認められる。

①職員の意欲向上と能力開発等について様々な取り組みを実施

- 職員の確保、育成方策、キャリアパスなどを検討し、人事基本方針の策定を行った。
- 研修体系の整理を行い、基礎的事項の研修や研究開発業務の専門的事項の研修を実施（参加者1367名）。
- 「女性の職業生活における活躍の推進に関する法律に基づく一般事業主行動計画」を定め、目標の達成度を把握、女性活躍の促進を進めた。

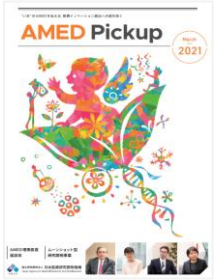
②情報公開の推進等の積極的な実施

HP、総合パンフレット、広報誌、研究成果のプレスリリースなど、AMEDに関する積極的な情報発信を実施。

COVID-19関連の研究開発について、特設サイトを設け、一元的に情報発信。

特設サイトや研究者自身の音声付きスライドで紹介

広報誌（AMED Pickup）を創刊。



AMEDの取組、AMEDが支援を行った研究成果を、記者等に説明する機会を3回実施。

第2回理事長記者説明会の様子：COVID-19研究について

Ⅳ. その他業務運営に関する重要事項

（1）内部統制に係る体制の整備（2）コンプライアンスの推進（3）情報公開の推進等
（4）情報セキュリティの推進（5）職員の意欲向上と能力開発

③内部統制に係る体制の整備やコンプライアンスの推進

関連する法律等を順守しつつ、AMEDのミッションを有効かつ効率的に遂行するため、以下の取組を実施した。

- 内部統制推進委員会の実施
  業務記述書等の改訂、自己点検（モニタリング）の結果を委員会に報告し、リスク発生の未然防止に努めた。（年度内2回開催）
- コンプライアンス研修の実施
  職員に対し、コンプライアンス研修を実施し、コンプライアンス意識の啓発を図った。（参加者421名）
- 服務・倫理、情報管理に関するコンプライアンスハンドブックを改訂し、役職員に配布し周知を図った。
- ハラスメント等相談窓口の連絡先を記載したコンプライアンスカードを入構者に配布し、窓口の連絡先の周知を図った。

コンプライアンスカード

④情報セキュリティ対策の推進

情報セキュリティの意識向上のため、以下の関連する研修等を実施した。

- 初任者を対象とした研修を実施した。（自習形式）。（受講者数 197名）
- 全役職員を対象とした研修を実施（メール形式）
  メール誤送信や不審メールなどへの対処方法の研修を実施した。（実施回数6回、受講者数 のべ2,306名）
- 標的型攻撃メール訓練を実施
  AMED を標的とするメール攻撃を想定した訓練を実施した。（実施回数2回）
- インシデント発生時や不審メールなどへの対応手順等、情報セキュリティに関する遵守事項について点検した。
- 不正アクセス事案に適切に対応