

国立研究開発法人日本医療研究開発機構の中長期目標期間終了時
における業務・組織全般の見直しについて

令和6年8月
内閣府
文部科学省
厚生労働省
経済産業省

1. 政策上の要請及び現状の課題

我が国は、世界最高水準の平均寿命を達成し、人類誰もが願う長寿社会を現実のものとした。今後は、世界に先駆けて超高齢社会を迎える我が国にあって、国民がさらに健康な生活及び長寿を享受することのできる社会（健康長寿社会）を形成することが急務となっている。このような背景から、「日本再興戦略-JAPAN is BACK-」（平成25年6月14日閣議決定）において、医療分野の研究開発の司令塔機能を創設することとされ、基礎から実用化まで切れ目ない研究管理の実務を行う独立行政法人の創設等の措置を講ずることが明記された。平成26年5月の独立行政法人日本医療研究開発機構法（平成26年法律第49号）の成立を経て、平成27年4月に国立研究開発法人日本医療研究開発機構（以下「本法人」という。）が設立された。

本法人は、医療分野の研究開発における基礎的な研究開発から実用化のための研究開発までの一貫した研究開発の推進及びその成果の円滑な実用化並びに医療分野の研究開発が円滑かつ効果的に行われるための環境の整備を総合的かつ効果的に行うため、医療分野研究開発計画に基づき、大学、研究開発法人その他の研究機関の能力を活用して行う医療分野の研究開発及びその環境の整備等の業務を行うことを目的としている。

本法人においては、医療分野の研究開発関連予算（国が定めた戦略に基づくトップダウンの研究を行うために、研究者や研究機関に配分される研究費等）を集約し、基礎から実用化まで切れ目ない研究開発支援を実施してきている。第1期中長期目標期間（平成27年度～令和元年度）では、各省の関連する研究開発事業を統合的に連携させ、一つのプロジェクトとして一元的に管理する統合プロジェクトを立ち上げ、統合プロジェクトごとにプログラムディレクター（PD）等を配置し、基礎から実用化までの一貫した研究開発管理を行っている。第2期中長期目標期間（令和2年度～令和6年度）においては、第1期中長期目標期間中にあった統合プロジェクトについて、疾患を限定しないモダリティ等の統合プロジェクトに集約・再編し、新たな医療技術等の様々な疾患への効果的な展開や「予防／診断／治療／予後・QOL」といった開発目的を明確にした研究開発を推進するとともに、疾患領域に関連した研究開発は、モダ

リティ等の統合プロジェクトを横断する形で、統合プロジェクト間の連携を常時十分に確保し、特定の疾患ごとに疾患領域コーディネーター(DC)を配置して、柔軟にマネジメントできる体制を構築してきた。一般的に医薬品等の研究開発には10年単位の年月を要するため、第2期中長期目標の下での取組はまだ道半ばではあるが、研究成果の疾患横断的な展開、研究者の実用化への意識の変化が見られるなど、一定の効果は得られていると評価できる。

一方で、医薬品を中心に、ドラッグ・ラグ／ドラッグ・ロス問題、我が国の医薬品等の産業の国際競争力の低下が課題として指摘されている。医療分野の研究開発の観点からは、多様なプレーヤーと連携し、出口志向の研究開発をリードできる人材、国際水準の臨床試験の実施、アカデミア・スタートアップの絶え間ないシーズ創出・育成などが、また本法人における研究開発支援の観点からは、各省庁に紐づく施策・事業の間の壁について指摘がなされた。さらに、第2期中長期目標期間中に発生した新型コロナウイルス感染症の世界的な流行を契機に、将来の感染症有事に備えた政府一体となったワクチン・治療薬・診断薬開発の必要性が浮き彫りになった。加えて、「経済財政運営と改革の基本方針 2024～賃上げと投資がけん引する成長型経済の実現～」(令和6年6月 21 日閣議決定)においては、予防・重症化予防・健康づくりに関する大規模実証研究事業の活用などにより、保健事業やヘルスケアサービスの創出を推進し、得られたエビデンスの社会実装に向けた本法人の機能強化を行うこと、本法人の研究開発支援を通じて研究基盤を強化することで創薬力の抜本強化を図ることが課題として明記されている。

以上の課題の解決のため、モダリティ等を軸とした第2期中長期目標期間中の統合プロジェクトをさらに発展・強化させつつ、基礎・応用研究の段階から医薬品・医療機器等の開発目的を見据えた統合プロジェクトの推進が求められる。また、業務の実施に当たっては、資金配分の方法や仕組み等について見直しを行っていくことが重要である。

本法人の業務及び組織については、本法人に期待されている役割(ミッション)の達成に向けて法人の能力が十二分に発揮され、世界最高水準の医療の提供、ひいては、健康長寿社会の形成に資することが期待されていることを軸としつつ、医療分野研究開発推進計画の見直しの議論や中長期目標期間終了時に見込まれる業績評価の結果、上記の本法人を取り巻く環境等を踏まえて、以下の観点で見直し、次期中長期目標・中長期計画の策定等を行うこととする。

2. 講ずるべき措置

上述した政策上の要請及び現状の課題を踏まえ、以下の措置を講ずる。

(1) 中長期目標期間

本法人の業務は、健康・医療戦略、医療分野研究開発推進計画等の国の政策に即応して実施するとともに、機動的に見直していくことが適切であることから、中長期目標期間は5年とする。

(2) 中長期目標の方向性

○ 本法人に求められる機能を発揮するための体制の構築等

本法人の事業について、より高いレベルで効果的・有機的に連携を行い、革新的なシーズの創出から実用化に向けた有望なシーズの企業への導出までを切れ目なく支援できる体制の構築を進める。具体的には、健康・医療分野の社会課題や国際的な研究開発動向の把握、出口志向の研究開発のマネジメントの実現、実用化に向けたハンズオン支援(企業導出に必要な質の試験データの取得、知財ガバナンス構築や事業化支援の取組を含む)の推進、関係府省庁の補助事業の間での継続的な支援、これらを実装するためのシンクタンク機能の強化について、各府省庁が行う予算確保や執行面での柔軟性向上の取組とも特に密接に連携して取り組む。加えて、研究開発成果の普及と活用の促進、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、本法人に求められている機能を発揮するための体制の構築等を進める。

○ 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

関係府省庁の医療分野の研究開発関連予算を集約することにより、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。

具体的には、モダリティ等を軸とした第2期中長期目標期間中の統合プロジェクトをベースにしつつ、感染症対策や橋渡し・臨床加速化、エコシステム強化などを加え、以下のとおり統合プロジェクトを発展させる。

- ・医薬品
- ・医療機器・ヘルスケア
- ・再生・細胞医療・遺伝子治療
- ・感染症
- ・データ利活用・ライフコース
- ・シーズ開発・基礎研究
- ・橋渡し・臨床加速化
- ・イノベーション・エコシステム

統合プロジェクトごとに、プログラムディレクター(PD)を置き、関連する研究開発事業を統合的に連携させ、一元的に管理するとともに、その成果等をより効率的に疾患研究に応用・展開する。

なお、全ての統合プロジェクトを通じて、以下の点に留意することとする。

- ・「予防／診断／治療／予後・QOL」といった開発目的別の技術アプローチを行う。
これにより、ライフステージを俯瞰した健康寿命延伸を意識した取組とする。
- ・今後の人口動態を踏まえた、我が国において大きな社会課題である疾患分野に係る研究開発の状況を把握する観点から、がん、難病・希少疾病、ライフコース（成育、女性特有の疾患、認知症、精神・神経疾患、生活習慣病・老年医学）に関する研究開発課題について、予算規模や研究状況等の確認を的確に行う。
- ・これまで本法人が支援した研究開発課題の成果について、ベンチャー企業をはじめ広く産業界に導出して薬事承認などを得て実用化につなげていくという共通の目標・方向性の下、成功事例の要因分析や進捗していない事例の原因を分析し、採択すべき研究開発課題や接続可能な事業について検討を行い、その結果を踏まえ、公募要領や採択基準の見直しを行うとともに、事業間連携の仕組みを試行的に構築・導入する。
- ・事業横断的なステージゲートの考え方を導入することにより、研究開発課題の継続／中止を早期に判定し、出口に向けて次の段階につながらない研究開発課題の入れ替えを研究開発期間の途中でも実施する。
- ・画期的なシーズの創出・育成等を目的とする基礎的な研究開発について継続的・安定的に支援を行いつつ、基礎から実用化に向かうファストパスについても、成果目標を定めて管理する。
- ・なお、事業間連携を含めた実用化に向けた取組の促進にあたっては、実用化のための研究開発について継続的・安定的に支援を行うとともに、事業それぞれが相互に、政策上の繋がりや整合性、それに見合った設定となるよう、関係府省庁と事業の検討段階から摺り合わせを行う。
- ・基礎から実用化まであらゆるフェーズにある医療分野の研究開発が責任ある研究・イノベーション（RRI）の考え方に基づき推進・展開されるよう、研究開発のプロセスや研究開発成果が実用化した際に生じる倫理的・法的・社会的課題（ELSI）への対応を行う。また、研究倫理に関連する法令・指針等を十分に尊重する。レギュラトリーサイエンスや研究への患者・市民参画（PPI）等「社会共創」の取組も充実・普及させ研究開発を推進する。
- ・全ての事業を対象に、各事業の特性に応じて、新たなモダリティの研究開発やスタートアップ創出にも貢献できる人材の確保・育成、治験・臨床試験業務支援をはじめ研究支援人材の確保・育成に取り組み、キャリアパスの構築、サイエンスとビジネスの好循環を生み出す人材の育成と流動性の向上に貢献する。
- ・研究環境の整備を推進し、共用の先端研究基盤の整備、既存の先端研究基盤の共用の推進による最先端の計測・解析機器等へのアクセスの確保、既存の大型研究基盤施設における連携と異分野融合、データ基盤の整備に支えられ

る生成 AI の活用も含めたデータ駆動型研究を促進する。

○業務運営の効率化に関する事項

本法人全体の事業規模の増減や業務の高度化・多様化に応じ、本法人に求められる機能を果たすため、適切な組織・人員体制を整備する。その際、研究開発資金に対する説明責任に留意しつつ、事務手続が研究者等にとって過度な負担とならないよう、事務手続の簡素化・合理化を進める。また、本法人における業務運営の一層の効率化を図るため、業務フローや業務マニュアル等の改善、法人内の情報共有や意思決定の仕組みについて不断の見直しを行う。改善した事務手続や業務フロー等については、研究者等や職員からフィードバックを得て、更なる改善に反映するなど、PDCA サイクルを徹底する。

○財務内容の改善に関する事項

保有資産について有効活用を推進するとともに、不断の見直しを行い、保有する必要がなくなったものについては廃止等を行う。

○その他業務運営に関する重要事項

上記業務を効率的・効果的に進めるため、医療分野の研究開発のマネジメントを始め業務運営に係る人材の確保・育成の方針に基づき、人材確保・育成を進める。また、内部統制等に関する法人の長のトップマネジメントを強化する。