

1. 当事務及び事業に関する基本情報			
I―(2)―③	(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施 ③革新的医療技術創出拠点		
関連する政策・施策	－	当該事業実施に係る根拠（個別法条文など）	国立研究開発法人日本医療研究開発機構法（平成 26 年 5 月 30 日法律第 49 号）第 16 条
当該項目の重要度、困難度	重要度、優先度等は高い	関連する研究開発評価、政策評価・行政事業レビュー	健康・医療戦略の実行状況と今後の取組方針 2017（平成 29 年 7 月 26 日健康・医療戦略推進本部決定） 医療分野研究開発推進計画の実行状況と今後の取組方針 2017（平成 29 年 7 月 26 日健康・医療戦略推進本部決定） 政策評価・行政事業レビュー（内閣府 0034、文部科学省 0252、厚生労働省 884-3）

2. 主要な経年データ												
主な参考指標情報							②主要なインプット情報（財務情報及び人員に関する情報）					
	基準値等	27 年度	28 年度	29 年度	30 年度	31 年度		27 年度	28 年度	29 年度	30 年度	31 年度
応募件数		187 件	135 件	382 件	211 件		予算額（千円）	12,322,551	11,598,949	10,046,555	11,194,264	
採択件数		57 件	31 件	109 件	52 件		決算額（千円）	11,774,614	11,585,030	9,786,731	10,867,333	
シンポジウム等の開催件数		11 件	4 件	4 件	1 件		経常費用（千円）	11,773,498	11,809,121	9,903,639	11,039,734	
サイトビジット・班会議・研究者打合せ・電話会議等の実施/参加回数		33 件	52 件	117 件	74 件		経常利益（千円）	0	0	-3	0	
PS/PO 会議実施回数		17 件	2 件	3 件	6 件		行政サービス実施コスト（千円）	11,773,498	11,585,334	9,736,395	10,869,679	
医師主導治験届出数（2020 年頃まで）	年間 40 件	31 件	24 件	33 件	36 件							
FIH 試験（企業治験含む）（2020 年頃まで）	年間 40 件	16 件	24 件	26 件	22 件		従事人員数	11 人	19 人	18 人	16 人	

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

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

	中長期目標	中長期計画	主な評価軸（評価の視点）、指標等	法人の主な実績等・自己評価		主務大臣による評価			
				主な業務実績等	自己評価	（見込評価）		（期間実績評価）	
						評価		評価	
	アカデミア等における画期的な基礎研究成果を一貫して実用化につなぐ体制を構築するとともに、各開発段階のシーズについて国際水準の質の高い臨床研究や治験を実施・支援する体制の整備も行う。 具体的には、大学等の基礎研究成果を一貫して実用化につなぐ体制を構築するため、当該プロジェクトにおける、橋渡し研究支援拠点、臨床研究中核病院等の一体化を進めるとともに、	アカデミア等における画期的な基礎研究成果を一貫して実用化につなぐ体制を構築するとともに、各開発段階のシーズについて国際水準の質の高い臨床研究や治験を実施・支援する体制の整備も行う。 具体的には、大学等の基礎研究成果を一貫して実用化につなぐ体制を構築するため、革新的医療技術創出拠点プロジェクトにおいて、文部科学省及び厚生労働省と協力しつつ、PD・PS・POによる体制整備状況の確認・助言を適宜行うとともに、拠点間で情報を共有することにより、各拠点や病院の一体的な運営を推進する。	<評価軸> ・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。 <モニタリング指標> ・左記の評価軸に係る取組状況	■橋渡し研究支援拠点や臨床研究中核病院の一体的な運営の促進 【橋渡し研究戦略的推進プログラム（＊）、臨床研究中核病院関連事業（※）】 - 各拠点や病院の一体的な運営を推進するために文部科学省及び厚生労働省と協力しつつ機構が中心となって、PD・PS・PO 会議を開催し、今年度の本プロジェクトの実施内容及びスケジュール等について共有し、今後の運営方針等を確認、議論した。 - 年 1 ～ 2 回、PD・PS・PO、文部科学省、厚生労働省及び革新的医療技術創出拠点とともに全体会議を実施し、現在の各拠点の支援するシーズの開発進捗状況と今後の方向性、拠点の自立化やネットワーク化に向けた取組、サイトビジットの重点方針等について拠点間で共有した。 - 革新的医療技術創出拠点に対して拠点外シーズへの積極的支援を義務づけ、更に各拠点の特色化も推進することにより、広域連合・分散統合を推進した。 - 平成 27 年 6 月～ 8 月にかけて平成 26 年度サイトビジットでの指摘事項に対するフォローアップ調査を計 7 施設に対し行い、指摘事項に対する各拠点の取組状況をヒアリングするとともに PD(PS)、PO、文部科学省、厚生労働省及びサポート機関と連携してアドバイスをを行った。 - 毎年 9 月～12 月にかけて全拠点に対しサイトビジットを行い、研究成果の実用化のための体制構築について各拠点の取組状況をヒアリングするとともに、PD・PS・PO 及びサポート機関と連携の上、拠点の ARO 機能等の体制整備状況について適切なアドバイスをを行った。各拠点の成果の把握の方法や指導助言については、体制整備にあたりポイントとなる点を、拠点の意見も踏まえサイトビジットで議論し、適宜反映した。 平成 28 年度には、前年度のサイトビジットでの指摘事項に対する対応状況についてもヒアリングした。平成 28 年度のサイトビジットでは、支援中止となったシーズについても説明してもらうこととしたため、拠点における支援継続又は支援中止の判断について	<評価と根拠> 評価：A 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、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、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。 【拠点や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等を通じ、アカデミア等における画期的な基礎研究成果を一貫して実用化につなぐ体制の構築や各開発段階のシーズについて国際水準の質の高い臨床研究や治験を実施・支援する体制の整備に向けた指導助言を行ったことで、各拠点の体制整備の進捗が認められた。また、文部科学省所管の事業と厚生労働省所管の事業のシーズを合同で公募し、同一の課題評価委員会で評価するよう PD、PS、PO、文部科学省及び厚生労働省と調整し、省庁間のリエゾンをより一層強化する方向性を明確にしたことは高く評価できる。				

			の議論を深めることができた。 平成 29 年度のサイトビジットでは、拠点の自立化に向けて必要な、基礎から実用化まで一貫した研究課題のマネジメントや研究開発戦略を実現するために必要な体制についての議論を深めることができた。 平成 30 年度のサイトビジットでは、拠点の自立化に向けて必要な、基礎から実用化まで一貫した研究課題のマネジメントや研究開発戦略を実現するために必要な体制についての議論を深めることができた。サイトビジットの調査票について見直しを行い、これまでの調査との継続性に配慮するとともに、医療法に基づく調査等との重複部分について削除し負担軽減・効率化を図る一方、拠点の自立化関連指標や臨床研究法施行後の対応状況等の必要な項目については重点的に記入を求める様式に改訂した。変更点について拠点を訪問しての説明を行ったことにより、拠点において改訂の意図が反映された調査票が作成された。また、拠点内外におけるシーズ発掘体制について確認を行った。それらの記載内容から、シーズ発掘や育成を担うプロジェクトマネージャーの人材不足が各拠点共通の課題として抽出され、その解決策を協議するための拠点間ネットワーク実務者 WG による取り組みを平成 30 年度内に開始した。 ・サイトビジットでは、重点事項に焦点を絞ることで調査実施の効率化を図ったほか、当課以外の関係課室の参加の下、当課以外の関係課室から研究費を受けるシーズの進捗管理・助言指導も併せて行い、効率的に研究支援機能調査を実施した。 ・喫緊の課題である持続可能な自立した革新拠点を目指すため、自立の程度が明確になるよう、サイトビジットを効果的・効率的に行うことに取り組んだ。更に、サイトビジットを受け、PD、PS、PO 会議などを通じて拠点への指導・助言ができるよう取り組んだ。 ・橋渡し研究加速ネットワークプログラムにおいて、課題選考委員会を設置し、平成 27 年 6 月及び平成 28 年 2 月に事前評価委員会を開催し、適切な課題を選定した。 ・平成 29 年度革新的医療技術創出拠点プロジェクト関連シーズの公募から、文部科学省が所管する橋渡し研究戦略的推進プログラムと厚生労働省が所管する革新的医療シーズ実用化研究事業を、同一の課題評価委員会で一体的に評価出来るよう、PD、PS、PO、文部	＜今後の課題＞ ・サイトビジットの効果的及び効率的な実施の仕方、各拠点の成果の把握の方法(様式)などについては、文部科学省、厚生労働省及び拠点とともに引き続き検討が必要である。 ・より緊密な一体化運営を実現するためには、橋渡し拠点と臨床研究中核病院が完全には同一でないことも考慮しながら、拠点間のネットワークを強化し、拠点外シーズをより支援していく必要がある。	
--	--	--	---	---	--

			科学省及び厚生労働省と調整を行い、平成 29 年 3～6 月、平成 29 年 12～平成 30 年 3 月、平成 30 年 6～8 月に合同公募を計 3 回実施し、合同での中間評価を 2 回実施するなど、一体的な運営を行うことにより、基礎研究成果を一貫して実用化につなぐ体制が強化された。 ・本事業における具体的な成果の例は次のとおり。 (成果の例) ➤ アカデミア発医療技術の実用化 ・重症心不全の治療用の骨格筋芽細胞シート ・人工手関節が薬事承認を取得（DARTS 人工手関節） ・ラパマイシン外用剤による結節性硬化症皮膚病変治療 ・慢性特発性血小板減少性紫斑病（ITP）に対するリツキシマブの有効性と安全性の検討を目的とした第Ⅲ相試験 ・世界初の「マーカに基づく 4 次元コーンビーム CT 再構成」による適合強度変調陽子線治療の国際連携橋渡し研究 ・オートタキシン ・自家骨髄間葉系幹細胞（脊髄損傷） ・人工真皮 ・AMG0001 ・メラ金属コネクタ ➤ 医師主導治験の実施 ・ペプチドワクチンによるがん治療 ・口腔粘膜上皮細胞シート移植による角膜治療 ・HVJ エンベロープベクターによる癌遺伝子治療 ・先天性難治性皮膚疾患に対する自家培養表皮シート療法 FIH 試験 ・腸管下痢症に対するコメ型経口ワクチン ・糖尿病等の難治性皮膚潰瘍に対する再生治療 ・半導体レーザーを用いた温熱装置による放射線抵抗性表在癌治療 ・VCP ATPase 阻害剤を用いた眼難治疾患に対する治療法開発 ・新規培養法による自己骨髄間質細胞を用いた脳梗塞・脊髄損傷の再生医療法の開発 ・AMPA 受容体可視化のための PET プローブ			
--	--	--	--	--	--	--

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

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

			その質を確保するデータマネージャー（DM）及び治験・倫理審査委員、臨床研究実施者である医師・歯科医師向けの研修、倫理審査委員会・治験審査委員会委員養成研修を実施した。 ・平成 27～30 年度の 4 年間で、上級者 CRC 養成研修 8 回、DM 養成研修 10 回、治験審査委員会・倫理審査委員養成研修 15 回、医師向けの臨床研究・治験従事者研修 24 回を実施し、27 年度約 300 名、28 年度約 500 名、29 年度約 900 名、30 年度約 800 名の参加者があり、臨床研究・治験従事者を育成した。 ・橋渡し研究戦略的推進プログラムの拠点間ネットワークにおいて、①モニタリングに係る取組、②監査に係る取組を実施し、拠点合同で拠点内外のモニター等の臨床研究支援人材に対する研修を実施した。 ・橋渡し研究戦略的推進プログラムにおいて、医薬品・医療機器等の研究開発に資する人材育成を目指して Translational Science & Medicine Training Program（TSMTP）や Japan Biodesign を継続実施するとともに、2018 年 10 月から若手研究者等を対象にアントレプレナーの育成を目的とした、臨床開発からビジネスモデルまで、海外事業も含め豊富なビジネス経験を有するトップリーダーによるメンタリングと海外プログラムとの連携による人材育成プログラムである Research Studio を新たに開始した。2018 年度のプログラムにおいては、参画拠点の大学に加え、参画していない拠点や全国の拠点外の研究機関の若手研究者からも応募・参加希望があった。 ・2018 年度から、橋渡し研究戦略的推進プログラムにおける人材育成研修の担当者の会合（10 月 25 開催済）や、医療技術実用化総合促進事業における医療系ベンチャー育成支援プログラム担当者による連絡会（11 月 12 日開催済）を新たに開催し、人材育成等に係る情報共有や検討を行った。また、新たに拠点間ネットワーク実務者連絡会として、11 月 13 日にシーズ発掘及び PM 育成に関するテーマ、2 月 21 日に PM 育成や産学連携に関するテーマについて情報共有及び議論を行った。拠点間での施設・機器・専門性・教育等の効率的な活用における具体的な取組を検討されたことにより、拠点機能の特色化とネットワーク化が推進された。 ・平成 30 年度革新的医療技術創出拠点プロジェクト成果報告会において、TSMTP、Japan Biodesign、	＜今後の課題＞ ・平成 28 年度に選定された国際共同臨床研究実施推進拠点については、平成 30 年度でその採択期間が終了となるため、これまでの成果を活用しつつ、今後の臨床研究中核病院に求められる国際共同臨床研究に関連する支援機能について、検討していく必要がある。	
--	--	--	--	---	--

			Research Studio の人材育成プログラムの進捗報告と ARO 支援人材の育成・キャリアパスについてのパネルディスカッションを 2019 年 2 月 28 日に開催した。 ・若手研究者を対象とした橋渡し研究人材育成支援プログラムである第 6 回ヤング・サイエンティスト・シンポジウム（米国研究製薬工業協会主催）を AMED が後援し、2018 年 11 月 17 日に開催した。 ・平成 28 年度の調整費による中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会基盤整備モデル事業等において、5 機関でのモデル事業等を通じ、中央治験・倫理審査委員会を進めるガイドライン素案作り及び電子申請等の環境整備等の取組を行った。これと連携して、IRUD 事業においては、モデル事業実施機関において先駆的に CIRB を活用した審査を行った。 ・平成 29 年度の中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会基盤整備事業においては、サイトビジットの際に進捗を確認し、一括審査促進に向けた課題や取組み等について議論した。 ・国際共同研究実施推進事業において、課題選考委員会を設置し、平成 29 年 8 月に事前評価委員会を開催し、国際共同臨床研究実施推進拠点を 2 拠点（大阪大学医学部付属病院、国立がん研究センター中央病院）選定した。国際共同臨床研究実施推進拠点（大阪大学、国立がん研究センター）が臨床研究中核病院連絡会議及び「国際共同臨床研究を極める（平成 28 年度）」「競争から協奏へ（平成 29 年度）」と題したシンポジウムを開催し、臨床研究中核病院が実施または支援している国際共同臨床研究に関連するシーズの発掘や現状の課題を共有した。 ・これまで不足が指摘されていた生物統計家の育成については、生物統計家育成支援事業として優秀な生物統計家の人材育成を目的とし、座学的教育を実施する大学院と実学的研修を実施する病院が一体となった育成体制を整備した。平成 28 年度に生物統計家育成支援プロジェクト会議を計 4 回開催し、生物統計家育成支援拠点の公募を実施した。平成 28 年 9 月に東京大学大学院及び京都大学大学院を生物統計家育成支援拠点として選定し、AMED 初の、企業からの寄附金を活用した産官学連携により、両拠点に生物統計講座を設置した。生物統計家人材育成支援事業として平成 29 年 10 月に生物統計家育成支援プロジェクト会議を開催し、それぞれ東京大学大学院および京都大学			
--	--	--	---	--	--	--

			大学院を中心とする生物統計家育成支援拠点の体制構築方針に対して指導及び助言を行った。平成 29 年度、各育成拠点において入学者選抜試験を実施するとともに、平成 30 年度から学位授与コースを開設し、専門教育・育成研修を開始することとなった。合計 21 名が第一期生として在籍中で、研鑽に励んでいる。 ・橋渡し研究加速ネットワークプログラムにおいて、課題選考委員会を設置し、平成 28 年 7 月に事前評価委員会を開催し、適切な課題を選定した。また、橋渡し研究戦略的推進プログラムにおいて、平成 29 年 3 月に事前評価委員会を開催し、新たに「橋渡し研究支援拠点」を選定した。新たな「橋渡し研究支援拠点」には、既存の 9 拠点（北海道大学、東北大学、東京大学、慶応大学、名古屋大学、京都大学、大阪大学、岡山大学、九州大学）に加えて、筑波大学が選定され、平成 29 年度からは合計 10 拠点となることとなった。 ・なお、拠点機能は概ね整備されてきたため、平成 29 年度から開始する橋渡し研究戦略的推進プログラム及び医療技術実用化総合促進事業において、拠点機能の特色化を進めていく方針とした。 ■革新的医療技術創出拠点以外の研究機関との連携の強化と拠点保有情報等の確認 ・革新的医療技術創出拠点以外の研究機関との連携の強化や専門領域の研究者間での連携の推進を目指し、平成 27 年 11 月～平成 28 年 2 月にかけて本連携プロジェクト以外の 8 つの連携プロジェクトについて、機構内のプロジェクト担当課及び拠点等とプロジェクト連携シンポジウムの開催を企画し、8 つの連携プロジェクトにおいてそれぞれ実施し、拠点のネットワーク機能の強化、拠点外との連携の強化を図った。平成 28 年度においては、革新的医療技術創出拠点以外の研究機関との連携、専門領域の研究者間での連携の推進、さらには特定テーマにおけるネットワーク構築を目指し、平成 28 年 9 月～平成 29 年 1 月にかけて本連携プロジェクト以外の 8 つの連携プロジェクトについて、各 PD、PS、PO の意見も踏まえつつ、AMED 内のプロジェクト担当課及び拠点等とプロジェクト連携シンポジウムの開催を企画し、合計 4 回のシンポジウムを開催した。これにより、特定テーマに対し拠点も含めたネットワーク作り・縦横連携をより深化させた。シンポジウムは好評を博し、PD、PS、PO の参			
--	--	--	---	--	--	--

			加人数や1回あたりの参加人数等において平成 27 年度を上回った。 ・拠点が保有するシーズ情報やデータマネジメントシステムについて、R&D パイプライン管理システム等への入力やサイトビジットによる調査などを通じて確認を実施した。 ・臨床研究中核病院の臨床研究の質を向上させ、臨床研究のさらなる安全性の確保をはかるため、病院情報システム内の医療情報データの標準化を図ると共にそのデータを研究等にも利活用できる体制整備を開始した。 ・これらの取り組みを通じ、拠点外シーズ数は平成 27 年度 146 件、平成 28 年度 206 件、平成 29 年度 317 件、平成 30 年度 406 件と増加した。※橋渡し研究加速ネットワークプログラム、橋渡し研究戦略的推進プログラムの補助事業計画書に記載された件数の集計 ＊橋渡し研究加速ネットワークプログラム（H24-H28）、橋渡し研究戦略的推進プログラム（H29-H33） ※臨床研究中核病院関連事業 世界に先駆けた革新的新薬・医療機器創出のための臨床試験拠点の整備事業、臨床試験支援機能構築事業、臨床研究品質確保体制整備事業、未承認医薬品等臨床研究安全確保支援事業、国際共同臨床研究実施推進事業、医療技術実用化総合促進事業（未承認医薬品等臨床研究安全性確保支援プログラム、国際共同臨床研究実施推進プログラム、臨床研究・治験従事者研修及び啓発プログラム、医療系ベンチャー育成支援プログラム、先進医療等実用化促進プログラム）、早期探索的・国際水準臨床研究事業、革新的医療シーズ実用化研究事業、中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会基盤整備事業、倫理審査委員会報告事業、臨床研究実施基準等適合性確認費、ARO 機能評価事業			
また、ICH－GCP 準拠の国際水準の質の高い臨床研究や医師主導治験を実施するとともに、ARO 機能を持ち、多施設	臨床研究中核病院等といった ICH－GCP 準拠の国際水準の臨床研究や医師主導治験を実施又は支援することが	＜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、	■臨床研究中核病院等の整備と研究開発の推進 【橋渡し研究戦略的推進プログラム（＊）、臨床研究中核病院関連事業(※)】 ・本予算の取組に加え、平成 27 年度第 1 回調整費を追加配分し、研究支援に関わる人材の充実や教育体制の確立等による拠点機能の強化を図った。	【臨床研究中核病院等の整備と研究開発の推進、拠点のネットワーク強化及び切れ目ない実用化につなげる体制の構築、中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会の推進】 ・ICH－GCP 準拠の質の高い医師主		

	共同研究の支援を行う施設としてこれら拠点の整備を進める。なお、ARO機能の更なる活用のため、各医療機関が有するARO機能について客観的な評価も行う。	可能な環境の整備を推進するとともに、橋渡し研究支援拠点において基礎研究段階から実用化まで一貫した支援を行う人材・体制を整備して、育成したシーズを強力かつ切れ目なく効率的に実用化につなげる体制の構築を推進する。なお、ARO機能の更なる活用のため、各医療機関が有するARO機能について客観的な評価も行う。さらに、倫理審査の効率化や審査の質の統一を図ることを目的に、臨床研究中核病院等を中心に中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会を推進する体制整備を進める。	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。 ・また、各医療機関が有するARO機能について客観的な評価を行ったか。 ＜モニタリング指標＞ ・左記の評価軸に係る取組状況等	・サイトビジットとして、早期・探索的臨床試験拠点、臨床研究品質確保体制整備病院及び日本主導型グローバル臨床研究拠点、臨床研究中核病院、国際共同臨床研究実施推進拠点に対し、ICH－GCP 準拠の国際水準の質の高い臨床研究や医師主導治験を実施するための支援を、サイトビジット等を通じて行った。 ■拠点のネットワーク強化及び切れ目ない実用化につなげる体制の構築 ・ネットワーク強化及び切れ目ない実用化につなげる体制の構築については、前述の通り拠点合同でモニター・監査の支援人材を養成する研修等を実施した。 ・上記に加え、実務者WGとして、シーズの発掘・実用化を前臨床段階から支援・進捗管理できるプロジェクトマネージャーの育成に関する課題について議論する会議を開催した。また、ARO 協議会の知財専門家連絡会と連携した会議を実施した。 ・ジャパン・ヘルスケアベンチャー・サミット（JHVS）2018 にて、臨床研究中核病院6 拠点がブースを出展し、ベンチャー支援ニューや実用化シーズ・アカデミアシーズから起業したベンチャー等を紹介した（2018 年 10 月）。加えて、ピッチセッションやJHVS セミナーにおいても臨床研究中核病院の役割について紹介した。11 月には全拠点の本プログラム実務担当者間の連絡会を開催し、各拠点のベンチャー支援に関する取組・特長を情報共有し、在り方や連携の方策について検討を行った。連携の重要性を鑑み、定期的な連絡会開催のため取りまとめ機関を決定した。 ■ARO 機能の客観的な評価 ・「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。 ■中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会の推進 ・倫理審査の効率化を図るため、中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会基盤整備事業において、厚労省の担当課と調整を図りながら、平成 28 年度の調整費（第	導治験の実施により医薬品医療機器等法に基づく承認品目が出たことは高く評価できるとともに、中長期目標及び今年度目標に掲げられている医療機関に対し、PD、PS、PO とともに文部科学省、厚生労働省とともにサイトビジット等を行い、ARO 機能の整備状況の確認及び改善・向上の為の適切な指導・助言を実施したことは、今後の成果の創出に資するものであり評価できる。 ＜今後の課題＞ ・継続的に本取組を実施する。 ・今後も必要な整備は継続しつつ、整備された機能を生かしてシーズの実用化をより一層強化する方策を講じていく必要がある。 ・ARO の支援機能を評価する指標を検討すると共に、各 ARO の特色が見える化し、利用を促進していく必要がある。		
--	---	---	---	--	---	--	--

				1 回及び第 2 回) を獲得したモデル事業等を通じ中央倫理・治験審査委員会を進めるガイドライン素案作り等の取組を行ったほか、臨床研究中核病院等に設置されている治験審査委員会・倫理委員会に対し、他施設からの審査依頼を受け、一括審査が可能となるような電子申請等のシステムを整備した(平成 28 年 12 月)。 ・平成 28 年度の調整費による中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会基盤整備モデル事業等において、5 機関でのモデル事業等を通じ、中央治験・倫理審査委員会を進めるガイドライン素案作り及び電子申請等の環境整備等の取組を行った。これと連携して、IRUD 事業においては、モデル事業実施機関において先駆的に CIRB を活用した審査を行った。 ・平成 29 年度には、倫理審査の効率化を図るため、中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会基盤整備事業において、厚労省の担当課と調整を図りながら、平成 28 年度の中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会基盤整備モデル事業で作成されたガイドライン案を活用しながら、臨床研究中核病院等に設置されている治験審査委員会・倫理委員会で、他施設からの審査依頼を受け、一括審査をするための体制を整備し、実際に一括審査を行った(平成 30 年 3 月)。また、平成 29 年度第 2 回調整費にて新たに 31 機関を採択し、臨床研究法施行後一括審査を円滑に進めるために必要な課題抽出及び運営ノウハウの共有についての会議を、疾患等 6 つの分野ごとに実施した。 ・中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会基盤整備事業及び臨床研究・治験推進研究事業での研究成果が、臨床研究法における施設基準や臨床研究審査委員会の位置づけの明確化、利益相反管理に活用された。 ・平成 30 年 4 月、臨床研究法の施行に伴い、必然的に中央 IRB 化が進むことが想定されるが、中央 IRB での審査実績が十分でない機関が審査することによる委員会の運用や審査の視点にバラツキが生じる可能性がある。そこで、平成 30 年度は、平成 30 年度 4 月 1 日までに、臨床研究法第 23 条 1 項において厚生労働大臣の認定をうけ認定臨床研究審査委員会となった機関が参加する協議会を設置し、特定臨床研究を含めた臨床研究を審査する上での課題等について 4 つのワーキンググループ(①臨床研究法の統一書式及び利益相反管理様式の見直しについて検討②法施行前より実施中の特定臨床研究に関する調査③技術専門員			
--	--	--	--	--	--	--	--

			の評価実績に関する調査④地域ごとの臨床研究審査委員会に関する情報整理と提供方法について検討) 検討することで、審査する研究の質の担保を図ると共に研究の促進を図った。本協議会における議論等を踏まえ、厚生労働省において臨床研究法の統一書式の見直しがなされ、平成 31 年 3 月に厚生労働省のホームページで公表された。 ・介入研究における審査の効率化、質の統一化を図るため、中央倫理審査委員会等の体制整備を図ってきたが、非介入研究においても倫理審査のガイドライン等の策定を目的として公募を行い 1 機関を選定（平成 30 年 8 月）。非介入研究における一括審査ガイドライン等の作成に向け、国内外の現状及び問題点等について調査し、ガイドラインの内容を検討した。 ＊橋渡し研究加速ネットワークプログラム（H24-H28）、橋渡し研究戦略的推進プログラム（H29-H33） ※臨床研究中核病院関連事業 世界に先駆けた革新的新薬・医療機器創出のための臨床試験拠点の整備事業、臨床試験支援機能構築事業、臨床研究品質確保体制整備事業、未承認医薬品等臨床研究安全確保支援事業、国際共同臨床研究実施推進事業、医療技術実用化総合促進事業（未承認医薬品等臨床研究安全性確保支援プログラム、国際共同臨床研究実施推進プログラム、臨床研究・治験従事者研修及び啓発プログラム、医療系ベンチャー育成支援プログラム、先進医療等実用化促進プログラム）、早期探索的・国際水準臨床研究事業、革新的医療シーズ実用化研究事業、中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会基盤整備事業、倫理審査委員会報告事業、臨床研究実施基準等適合性確認費、ARO 機能評価事業			
	これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、 ・医師主導治験届出数 年間40 件 ・First in Human（F I H）試験（企業治験を含む）	これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、 ・医師主導治験届出数 年間40 件 ・First in Human（F I H）試験（企業治験を含む）	＜評価指標＞ 【2020 年までの達成目標】 ・医師主導治験届出数 年間 40 件 ・First in Human（F I H）試験（企業治験を含む。）年	■医療分野研究開発推進計画 達成すべき成果目標（KPI）		

む) 年間40件を目指すものとする。	む) 年間40件を目指すものとする。	間 40 件 ＜モニタリング指標＞ ・応募件数及び採択件数 ・事業に参画している研究者延べ人数 ・PMDA への薬事戦略相談を行った研究開発課題数 ・機動的な研究推進のため年度内に契約変更を実施した課題数		27 年度	28 年度	29 年度	30 年度			
			応募件数	187 件	135 件	382 件	211 件			
			採択件数	57 件	31 件	109 件	52 件			
			事業に参画している研究者延べ人数	927 人	2057 人	2144 件	3309 人			
			PMDA への薬事戦略相談を行った研究開発課題数	204 件	132 件	173 件	185 件			
			機動的な研究推進のため年度内に契約変更を実施した課題数	77 件	53 件	63 件	53 件			
			医師主導治験届出数 (AMED 全体)	31 件 (67 件)	24 件 (66 件)	33 件 (49 件)	36 件 (59 件)			
			FIH 試験 (企業治験含む) (AMED 全体)	16 件 (30 件)	24 件 (40 件)	26 件 (45 件)	22 件 (32 件)			
			・医師主導治験届出 (例) ・ペプチドワクチンによるがん治療 ・口腔粘膜上皮細胞シート移植による角膜治療 ・HVJ エンベロープベクターによる癌遺伝子治療 ・先天性難治性皮膚疾患に対する自家培養表皮シート療法 ・VCP ATPase 阻害剤を用いた眼難治疾患に対する治療法開発 ・新規培養法による自己骨髄間質細胞を用いた脳梗塞の再生医療法の開発 ・AMPA 受容体可視化のための PET プローブ ・FIH 試験 (企業治験を含む) (例) ・腸管下痢症に対するコメ型経口ワクチン ・糖尿病等の難治性皮膚潰瘍に対する再生治療 ・半導体レーザーを用いた温熱装置による放射線抵抗性表在癌治療 ・レーザ血栓溶解治療システムの開発 ・新規培養法による自己骨髄間質細胞を用いた脳梗							

				塞の再生医療法の開発 ・歯科用局所麻酔剤アーティカインを用いた医師主 導治験			
--	--	--	--	--	--	--	--

4. その他参考情報
特になし。

1. 当事務及び事業に関する基本情報			
I ― (2) ― ④	(2) 基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施 ④再生医療		
関連する政策・施策	－	当該事業実施に係る根拠（個別法条文など）	国立研究開発法人日本医療研究開発機構法（平成 26 年 5 月 30 日法律第 49 号）第 16 条
当該項目の重要度、困難度	重要度、優先度等は高い	関連する研究開発評価、政策評価・行政事業レビュー	健康・医療戦略の実行状況と今後の取組方針 2017（平成 29 年 7 月 26 日健康・医療戦略推進本部決定） 医療分野研究開発推進計画の実行状況と今後の取組方針 2017（平成 29 年 7 月 26 日健康・医療戦略推進本部決定） 政策評価・行政事業レビュー（内閣府 0034、文部科学省 0252、厚生労働省 884-4、経済産業省 0038）

2. 主要な経年データ												
主な参考指標情報							②主要なインプット情報（財務情報及び人員に関する情報）					
	基準値等	27 年度	28 年度	29 年度	30 年度	31 年度		27 年度	28 年度	29 年度	30 年度	31 年度
応募件数		62 件	231 件	228 件	265 件		予算額（千円）	16,020,209	15,766,013	14,092,504	15,834,232	
採択件数		39 件	42 件	79 件	65 件		決算額（千円）	15,960,916	15,642,964	14,304,176	15,629,570	
シンポジウム等の開催件数		2 件	7 件	21 件	6 件		経常費用（千円）	19,136,725	18,939,327	14,404,214	15,919,437	
サイトビジット・班会議・研究者打合せ・電話会議等の実施/参加回数		67 回	516 件	550 件	650 件		経常利益（千円）	0	555 の内数	0	0	
PS/P0 会議実施回数		13 回	13 回	10 回	13 回		行政サービス実施コスト（千円）	19,136,725	18,939,327	14,404,214	15,542,233	
臨床研究又は治験に移行する対象疾患の拡大	約 15 件（累積）	21 件	28 件	31 件	41 件		従事人員数	20 人	25 人	25 人	23 人	

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

3. 中長期目標、中長期計画、年度計画、主な評価軸、業務実績等、年度評価に係る自己評価及び主務大臣による評価							
	中長期目標	中長期計画	主な評価軸（評価の視点）、指標等	法人の主な実績等・自己評価		主務大臣による評価	
				主な業務実績等	自己評価	（見込評価）	
						評価	（期間実績評価）

	基礎から臨床段階まで切れ目なく一貫した支援を行うとともに、再生医療関連事業のための基盤整備並びに、iPS細胞等の創薬支援ツールとしての活用に向けた支援を進め、新薬開発の効率性の向上を図る。 具体的には、iPS細胞等を用いた再生医療の迅速な実現に向けて、安全なiPS細胞の提供に向けた取組、幹細胞操作技術等のiPS細胞等の実用化に資する技術の開発・共有、再生医療の基礎研究・非臨床試験の推進等を実施する。	基礎から臨床段階まで切れ目なく一貫した支援を行うとともに、再生医療関連事業のための基盤整備並びに、iPS細胞等の創薬支援ツールとしての活用に向けた支援を進め、新薬開発の効率性の向上を図る。 具体的には、再生医療の迅速な実現に向けて、iPS細胞を用いた他家細胞移植治療の基礎研究、応用研究、臨床研究及び治験を加速するために、均一なiPS細胞の高効率樹立法の確立等により、安全性の高い再生医療用 iPS 細胞ストックを構築し、その提供を推進する。また、幹細胞操作技術等の実用化に資する技術の開発・共有について、細胞を安定的に大量供給可能とする基盤技術や高度培養技術の開発等に対する支援を行う。 再生医療の基礎研究・前臨床試験については、短期、中長期で臨床研究への到達を目指す再生医療の基礎研究・前臨床研究を推進す	＜評価軸＞ ・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。 ＜モニタリング指標＞ ・左記の評価軸に係る取組状況等	＜主要な業務実績＞ ■iPS細胞の樹立方法の開発と iPS 細胞ストックの製作 ・「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」（iPS 細胞中核拠点、京都大学 CiRA）において、2015 年 8 月 6 日より臨床に使用出来る iPS 細胞ストックの配布を開始した。その後、提供細胞株を徐々にふやしていき、2019 年 3 月には HLA 型日本人第 4 位・末梢血由来の iPS 細胞ストックの提供を開始することができた。既に提供を行っている iPS 細胞ストックと合わせると、日本人の約 40%をカバーできると考えられ、より広い患者さんを対象とした再生医療の提供が可能となった。臨床研究用 iPS 細胞ストックの提供により、臨床研究、治験に向けた研究が加速することとなり、最近の他家 iPS 細胞を使用した臨床研究・治験の実施につながっている。 ・一方、使用しない試薬を使用した可能性が否定できないため、iPS 細胞中核拠点（京都大学 iPS 細胞研究所）で構築を進める臨床用 iPS 細胞ストックの一部の供給を停止したが、①指導的人材の確保を含めた体制強化、②工程管理システムの最適化・管理機能強化、③CSV（Computerized System Validation）※の実施と自動化システムの導入、④予期せぬシステム障害に備えるシステム堅牢性の確保を進め、GCTP(Good Gene, Cellular, and Tissue-based Products Manufacturing Practice)に準拠したストック供給に向け体制を構築し、平成 29 年 10 月 6 日に供給を再開した。 ・「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」（疾患・組織別実用化研究拠点）において、京都大学 CiRA の高橋淳教授らは、MHC 適合のサル iPS 細胞由来のドパミン神経細胞を他のサルの脳に移植するとドパミン神経細胞への免疫反応が抑制され生着率が向上することを確認した。この結果は他家移植において、MHC を適合させることの有用性を示しており、京都大学 CiRA にて樹立している臨床用 iPS 細胞ストックの臨床応用に関わる基礎的な知見となるものである。 ・「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」（再生医療の実現化ハイウェイ）において、慶應義塾大学医学部 福田恵一教授らは、遺伝子の初期化は受精直後も段階で達成されることに着目し、卵細胞に含まれる成分が遺伝子の初期化に関わっていると仮定し研究を進め、その結果、H1foo という卵細胞特異的なリンカーヒストンと、京都大学の山中教授が発見した 4 つの転写因子のうち 3 つを一緒に体細胞に発現させると、より高い多分化能をもつ iPS 細胞が高効率で作製できることを発見した。 ・「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」（iPS 細胞中核拠点）において、京都大学 CiRA の金子新准教授らは、ゲノム編集技術を用いて、HLA ヘテロ接合体の細胞から他家移植の際にレ	＜評定と根拠＞ 評定：APD・PS・PO 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、プロジェクトの連携により、基礎から臨床研究・治験までを切れ目なく支援した結果、世界で初めて iPS 細胞由来の細胞による臨床研究/治験を開始するなど、平成 30 年度末までに 42 件が臨床研究段階又は治験段階に移行した。また、iPS 細胞を活用した新規治療薬の探索について 4 件の治験が開始された。プロジェクトの運営にあたっては、「再生医療研究事業のマネジメントに関するチェック項目」を作成し、採択時の評価や進捗管理に活用した。また、産業界との意見交換をもとに、平成 31 年度から新たな産学連携課題を開始する。さらに、 研究交流会・再生医療ナショナルコンソーシアム等を通じてネットワーク形成・人材育成支援を行うとともに、公開シンポジウムにおいて患者・一般への情報発信を行うなど、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。 【iPS 細胞の樹立方法の開発と iPS 細胞ストックの製作】 ・細胞分化に関する基礎研究の成果を活用し、HLA ホモ iPS 細胞ストックは日本人		
--	---	---	--	---	---	--	--

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

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

			教授らは、iPS 細胞から肝細胞や腸細部の前段階の細胞である内胚葉前駆細胞を効率良くつくることに成功した。この細胞は凍結保存が可能で、増幅できることから、肝臓や腸のオルガノイドの作成が容易になる。次世代の臨床研究のシーズとなるような成果があがっている。 ■造腫瘍性等に関する研究等の支援 ・「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」（再生医療の実現化ハイウェイ）や、「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」（疾患・組織別実用化研究拠点）において、造腫瘍性試験を支援している。また、規制支援を目的とした再生医療の実現化ハイウェイの課題が各課題・拠点を横断的にバックアップし、First in Human の実施に向けて取り組んでいる。 ・再生医療実用化研究事業において、医薬品等規制科学課の医薬品等規制調和・評価研究事業と連携し、造腫瘍性等に関する以下の研究への支援を行った。 ➤ 国立医薬品食品衛生研究所の佐藤部長らは、ヒト iPS 細胞等の多様性幹細胞由来移植細胞の臨床応用における最大の隘路とされる造腫瘍性評価について、国内外の動向調査を行った結果、性能が担保された造腫瘍性試験における非臨床評価が重要であることを再確認した。本成果を広く海外に周知する目的で、健康環境科学研究機構（HESI）の CT-TRACS 委員会で、各極産官学メンバーと共同でポジションペーパー案を作成し、公開の準備を行っている。また、造腫瘍性試験に関する官民共同・多施設による研究体制を構築し、造腫瘍性試験に代替可能な簡易試験法を標準化するため、簡易試験法の性能を検討し、その結果を論文にまとめ、公表準備を進めている。 ➤ 先端医療振興財団の川真田センター長ら、東京医科歯科大学の森尾教授らは、多能性幹細胞由来の移植細胞における遺伝子情報と造腫瘍性の関連性を検討した。当該研究は、平成 27 年度厚生労働科学特別研究事業「iPS 細胞等を用いた臨床研究を実施する際の移植細胞の安全性評価の在り方に関する研究」（研究代表者：福井次矢）の検討結果を踏まえ、さらなる造腫瘍性に関する科学的知見の蓄積を行い、移植細胞の安全性評価に資する基準案の策定を目指すものである。本研究によって得られた科学的知見をもとに、今後、「特定認定再生医療等委員会におけるヒト多能性幹細胞を用いる再生医療等提供計画の造腫瘍性評価の審査のポイント」が改訂される見込みである。 ■再生医療研究基盤整備のための取り組み			
--	--	--	--	--	--	--

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

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

			上皮細胞シートについて、規制対応を進め、平成 30 年 3 月の厚生科学審議会再生医療等評価部会から、臨床研究実施の承認が得られた。角膜上皮細胞シートが上市されれば、ドナー不足により角膜移植のできない患者に対しての新たな治療法の提案となる。 ・再生医療の真の実現化のためには、再生医療のみならず、再生医療と並行して行うリハビリテーションを構築し、「失われた機能の再生」を目指すことが重要である。「再生医療実用化研究事業」において、慶應義塾大学医学部の中村雅也教授らは、脊椎損傷に対する再生医療と並行して、リハビリテーション治療の内容、プロトコルのあり方、効果測定方法の標準化を目指す臨床研究を計画し、平成 30 年 2 月の厚生科学審議会再生医療等評価部会から実施の承認を得た。 ・「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」で基礎研究を行った研究課題を臨床研究・治験の段階に円滑に移行することを目的として、臨床移行に必要な準備等をまとめた「再生医療研究事業のマネジメントに関するチェック項目」を作成し、平成 30 年 5 月の AMED 理事会・部長会議で承認された。「再生医療実用化研究事業」における採択時の評価及び進捗管理に活用した。 ・「製薬協・AMED 共催セミナー『花開け！再生医療のシーズ』（平成 30 年 7 月）を開催し、実用化に向けて再生医療のシーズをアカデミアから製薬企業にスムーズに受け渡すために必要なことについて、アカデミアと製薬企業等産業界でディスカッションを行った。この結果をもとに、平成 31 年度から新たな産学連携課題を開始する。また、平成 31 年度には、早期の段階でマーケティングやターゲティングの検討を行い、アカデミアのシーズをより企業にとって魅力的なシーズとするため、アカデミアの研究者を対象とした相談会を実施する。 ■細胞の採取から臨床応用までの効果的、効率的な手順等の確立に向けた研究 ・「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」（再生医療の実現化ハイウェイ）において、生物由来原料基準などレギュレーションや被験者の選定等に関する支援、およびインフォームド・コンセントなど倫理面での支援を行った。引き続き、基礎研究、非臨床試験から臨床研究に移行する研究等に対して支援していく予定である。 ■再生医療等製品の安全性評価手法の開発 ・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り組みとして、医薬品等規制科学課の医薬品等規制調和・評価研究事			
--	--	--	---	--	--	--

			業と連携しながら、「再生医療研究における品質及び安全性の評価に係る調査研究」（平成 28 年度～平成 30 年度）の研究課題を実施した。本研究では、再生医療研究課が所管する 4 事業の 144 課題から抽出したデータをもとに調査研究を実施し、成果を研究課題にフィードバックし、課題管理に活用している。 ■再生医療の実現化を支える産業基盤の構築 ・国内でヒト細胞原料を安定的に供給するため、「国内医療機関からのヒト（同種）体性幹細胞原料の安定供給モデル事業」では、ヒト細胞原料の供給にかかる体制整備に向けた研究を平成 30 年度より開始した。また本事業に併走して、ヒト細胞原料供給に関わる法的・倫理的な課題等を議論する有識者からなる検討委員会を設置し、3 回委員会を開催し、細胞取得のために必要な I C 等、優先項目について議論した。 ・「再生医療等の産業化に向けた評価手法等の開発」では、個々の再生医療等製品の開発における安全性や有効性に関する評価手法の確立や、製造工程合理化の検討等を行っている。平成 30 年度は、7 課題の再生医療等製品の開発における品質評価手法に関する規制当局の見解や開発のプロセス等について、公開の成果報告会（2 月 19 日、大手町プレイスカンファレンスセンター）において公表した。また、事業終了後、実施者により作成された事業報告書は、機構ホームページ等において広く公開される予定である。これらの取り組みを通して、後続の再生医療等製品の実用化のための基盤整備が促進されることが期待される。 主な成果としては、大日本住友製薬が代表者と努めるパーキンソン病に iPS 細胞由来神経細胞製剤の開発において、共同研究者である日立製作所が開発した iPS 細胞大量自動培養装置が、GCTP 省令 に適合した製品製造が可能な装置（「iACE2」）として国内で初めて製品化した。また、大阪大学宮川特任教授ら研究グループは、大日本印刷株式会社と共同で、人工知能（AI）技術を応用した、再生医療等製品に対するマイコプラズマ 否定試験を自動で判定する細胞画像解析ソフトを開発した。 ・再生医療シーズ開発の産業化を促進するため、「再生医療シーズ開発加速支援」では、ベンチャー含む民間企業が進める再生医療のシーズ開発において、臨床開発に進むために必要な薬事規制に沿った非臨床試験や製造工程の整備等を早期段階から行うための支援を平成 30 年度より開始した。 ■国際標準化機構（ISO）での再生医療に関する検討 ・「再生医療の産業化に向けた細胞製造・加工システムの開発」では、細胞製造プロセスの構築に加え、細胞製造システムに関連			
--	--	--	--	--	--	--

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

			・左記の評価軸に係る取組状況等	の検証試験等の進捗状況を国際会議などで発表、提案し、国際標準化に向けて国際的な議論を行った。さらに、2018 年 11 月に開催された ICH において、S7B 及び E14 ガイドラインに関する作業部会が設置され、ヒト iPS 細胞由来心筋細胞等を用いた新しいアプローチの利用可能性を検討することがコンセプトペーパーに記載された。国際コンソーシアムや ICH 作業部会等と連携しながら、引き続き、検討を進めている。	る。		
	さらに、幹細胞による創薬支援の実現化を支える産業基盤を構築する。	さらに、創薬プロセスにおける安全性評価に活用可能な、幹細胞を用いた創薬スクリーニングシステムの開発等により、創薬支援の実現化に向けた産業基盤の構築を支援する。	＜評価軸＞ ・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。 ＜モニタリング指標＞ ・左記の評価軸に係る取組状況等	■幹細胞による創薬支援の実現化を支える技術基盤の構築 ・「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」のサブプログラムとして、平成 29 年度から「疾患特異的 iPS 細胞の利活用促進・難病研究加速プログラム」を開始し、研究拠点（14 拠点）、iPS 細胞樹立課題（健常人の iPS 細胞樹立・寄託）、バンク活用促進課題（iPS 細胞の活用される環境整備）を採択した。 また、多くの研究者・企業に活用される環境を整備するために 1 件のバンク活用促進課題を採択し、疾患特異的 iPS 細胞等の寄託を受けるバンクの運営体制を構築した。その結果、819 患者由来の 402 疾患、3388 株の寄託を受け、119 疾患における 364 株、499 本を提供した（平成 30 年度 2 月現在）。また、寄託された疾患特異的 iPS 細胞のリストを平成 30 年 1 月にウェブ上で一般公開した。 ・「再生医療技術を応用した創薬支援基盤技術の開発」では、これまでの iPS 細胞研究の成果を活用し、iPS 細胞等から分化誘導した各種臓器細胞をチップ等のデバイス上に搭載することで、医薬品候補化合物の安全性や薬物動態等の評価が可能な新たなシステムの基盤技術を開発している。ユーザー（製薬企業）ニーズを踏まえ、デバイスのプロトタイプを開発すると共に、iPS 細胞由来の各種臓器細胞の高機能化を図る等、要素技術の開発を進めた。	【幹細胞による創薬支援の実現化を支える技術基盤の構築】 ・バンク機関としての機能が定着し、寄託数、提供数とも着実に伸びてきており、創薬支援の実現化を支える技術基盤が構築されてきていることは評価できる。 ・候補化合物の安全性や動態を評価する技術として、ユーザーとして想定しうる医薬品企業等も巻き込んだ上で研究を進めており、評価出来るものである。		

	これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、 ・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） ・再生医療等製品の薬事承認数の増加 ・臨床研究又は治験に移行する対象疾患の拡大35件 ・再生医療関係の周辺機器・装置の実用化 ・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を目指すものとする。	これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、 ・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） ・再生医療等製品の薬事承認数の増加 ・臨床研究又は治験に移行する対象疾患の拡大35件 ・再生医療関係の周辺機器・装置の実用化 ・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を目指すものとする。	＜評価指標＞ 【2020 年までの達成目標】 ・ i P S 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） ・ 再生医療等製品の薬事承認数の増加 ・ 臨床研究又は治験に移行する対象疾患の拡大 35 件 ・ 再生医療関係の周辺機器・装置の実用化 ・ i P S 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 ＜モニタリング指標＞ ・ 応募件数及び採択件数 ・ 事業に参画している研究者延べ人数 ・ PMDA への薬事戦略相談を行った研究開発課題数 ・ 機動的な研究推進のため年度内に契約変更を実施した課題数	■医療分野研究開発推進計画 達成すべき成果目標（KPI） ・ i P S 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）： 患者の細胞から作成した iPS 細胞を誘導し、目的の細胞を再現することに成功したことにより、病態解明や治療薬候補化合物の探索を行うことが出来るようになった。これにより、これまで治療が困難と思われてきた疾患への治療薬候補の探索が容易になり、いくつかの疾患に対して、治験が開始された。① 京都大学 iPS 細胞研究所 戸口田教授らグループが行った、進行性骨化性線維異形成症（FOP）へのリンパ脈管筋腫症の治療で使用されているシロリムスの治験をはじめ、② 慶應義塾大学医学部耳鼻咽喉科学教室の小川郁教授、藤岡正人専任講師らが生理学教室（岡野栄之教授）との共同研究の上で、Pendred 症候群に対する、シロリムスの治験の実施、③ 慶應義塾大学病院神経内科診療科部長の中原仁教授、診療科副部長の高橋慎一准教授らが生理学教室（岡野栄之教授）との共同研究の上で、ALS へのロピニロール塩酸塩の治験を開始、④京都大学 iPS 細胞研究所 井上治久教授らによる、疾患特異的 iPS 細胞を用いたスクリーニングにより、ALS へのボスチニブの治験を開始した。 ・ 再生医療等製品の薬事承認数： これまで承認された① ヒト（自己）表皮由来細胞シート（「ジェイス」（株式会社ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング）「重症熱傷」）、② ヒト（自己）軟骨由来組織（「ジャック」（株式会社ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング）「膝関節の外傷性軟骨欠損症と離断性骨軟骨炎（変形性膝関節症を除く）」）に加え、H27 年度に③ 条件・期限付承認としてヒト（自己）骨格筋由来細胞シート（「ハートシート」（テルモ株式会社）「虚血性心疾患」）、④ ヒト（同種）骨髄由来間葉系幹細胞（「テムセル HS 注」（JCR ファーマ株式会社 「GVHD」）、H28 年度に ⑤ 適応追加としてヒト（自己）表皮由来細胞シート（「ジェイス」（株式会社ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング）「先天性巨大色素性母斑」）、H30 年度に、⑥ 条件・期限付承認としてヒト（自己）自己骨髄間葉系幹細胞「ステミラック注」（ニプロ株式会社）「脊髄損傷」）が承認された。また、⑦ヒト（自己）表皮由来細胞シート（「ジェイス」（株式会社ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング）「表皮水疱症」）の適応が追加された。 ・ 臨床研究又は治験に移行する対象疾患の拡大： 「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」、「再生医療実用化研究事業」等で推進する研究開発について、累計で 42 件（対象疾患数：37 疾患）となった。			
--	---	---	--	---	--	--	--

			(内訳) ① 文部科学省「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」等での支援 により、臨床研究段階又は治験段階へ移行した課題 2013 年度：5 件、2014 年度：2 件、2015 年度：1 件、2016 年度：1 件 ② 厚生労働省「再生医療実用化研究事業」等での支援等により、臨床研究又は治験へ移行した課題 2013 年度：4 件、2014 年度：6 件、2015 年度：3 件、2016 年度：6 件、2017 年度：3 件、2018 年度：11 件 ・再生医療関係の周辺機器・装置の実用化の状況： 経済産業省「再生医療の産業化に向け評価基盤技術開発事業」からは① 日立製作所が iPS 細胞自動培養装置を、② 大陽日酸は小型でドライアイス不要の生体試料搬送容器 CryoHandy を実用化、販売開始した。また、③ リプロセルが実用化した DMSO フリータイプの細胞凍結保存液が、薬機法に基づく原薬等登録名簿(マスターファイル)に登録された。 また、④ リプロセルは、生物由来原料基準をクリアし、再生医療向けとして臨床実験に使用可能なヒト iPS 細胞用培養液「ReproMed™ iPSC Medium」を発売開始した。 文科省「再生医療実現拠点ネットワークプログラム技術開発個別課題」からは、マトリクスームが⑤-1 細胞培養基質のラミニンの高純度精製品 iMatrix-411、⑤-2 希釈操作が不要な Easy iMatrix-511、⑤-3 Easy iMatrix-511 をコーティングプレート化した Quick iMatrix-511 を実用化・販売開始した。 また、⑥ 名古屋大学にて開発した「幹細胞標識用超低毒性量子ドット」を和光純薬工業が「Fluclair™」として商品化した。 ・iPS 細胞技術を応用した医薬品心毒性評価法の国際標準化への提言の状況： 国内の大規模検証試験により、ヒト iPS 細胞由来心筋細胞はヒト心電図データを反映すること、精度よく不整脈リスクを予測できることを明らかにした。また、国際検証試験に参加して、米国 FDA らとともにヒト iPS 細胞由来心筋細胞の評価系に関して再現性や有用性を明らかにした。国内外の検証試験等の進捗状況を国際会議などで発表、提案し、国際標準化に向けて国際的な議論を行った。さらに、2018 年 11 月に開催された ICH において、S7B 及び E14 ガイドラインに関する作業部会が設置され、ヒト iPS 細胞由来心筋細胞等を用いた新しいアプローチの			
--	--	--	--	--	--	--

			利用可能性を検討することがコンセプトペーパーに記載された。国際コンソーシアムや ICH 作業部会等と連携しながら、引き続き、検討を進めている。 <table><tr><td></td><td>H27 年 度</td><td>H28 年 度</td><td>H29 年 度</td><td>H30 年 度</td><td>合計</td></tr><tr><td>○応募件数</td><td>62</td><td>231</td><td>228</td><td>265</td><td>786</td></tr><tr><td>○採択件数</td><td>39</td><td>42</td><td>79</td><td>65</td><td>225</td></tr><tr><td>○事業に参画している研究者延べ人数</td><td>400</td><td>900</td><td>900</td><td>900</td><td>3,100</td></tr><tr><td>○PMDA への薬事戦略相談を行った研究開発課題数</td><td>46</td><td>30</td><td>30</td><td>27</td><td>133</td></tr><tr><td>○機動的な研究推進のため年度内に契約変更を実施した課題数</td><td>24</td><td>45</td><td>45</td><td>55</td><td>169</td></tr></table>		H27 年 度	H28 年 度	H29 年 度	H30 年 度	合計	○応募件数	62	231	228	265	786	○採択件数	39	42	79	65	225	○事業に参画している研究者延べ人数	400	900	900	900	3,100	○PMDA への薬事戦略相談を行った研究開発課題数	46	30	30	27	133	○機動的な研究推進のため年度内に契約変更を実施した課題数	24	45	45	55	169			
	H27 年 度	H28 年 度	H29 年 度	H30 年 度	合計																																					
○応募件数	62	231	228	265	786																																					
○採択件数	39	42	79	65	225																																					
○事業に参画している研究者延べ人数	400	900	900	900	3,100																																					
○PMDA への薬事戦略相談を行った研究開発課題数	46	30	30	27	133																																					
○機動的な研究推進のため年度内に契約変更を実施した課題数	24	45	45	55	169																																					

4. その他参考情報
特になし。

1. 当事務及び事業に関する基本情報			
I－(2)―⑤	(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施 ⑤オーダーメイド・ゲノム医療		
関連する政策・施策	－	当該事業実施に係る根拠（個別法条文など）	国立研究開発法人日本医療研究開発機構法（平成 26 年 5 月 30 日法律第 49 号）第 16 条
当該項目の重要度、困難度	重要度、優先度等は高い	関連する研究開発評価、政策評価・行政事業レビュー	健康・医療戦略の実行状況と今後の取組方針 2017（平成 29 年 7 月 26 日健康・医療戦略推進本部決定） 医療分野研究開発推進計画の実行状況と今後の取組方針 2017（平成 29 年 7 月 26 日健康・医療戦略推進本部決定） 政策評価・行政事業レビュー（内閣府 0034、文部科学省 0252、復興-0062、厚生労働省 884-5）

2. 主要な経年データ												
①主な参考指標情報							②主要なインプット情報（財務情報及び人員に関する情報）					
	基準値等	27 年度	28 年度	29 年度	30 年度	31 年度		27 年度	28 年度	29 年度	30 年度	31 年度
応募件数		24 件	119 件	34 件	28 件		予算額（千円）	7,990,616	10,574,283	12,342,273	9,230,792	
採択件数		8 件	30 件	5 件	7 件		決算額（千円）	7,147,390	11,282,378	12,229,057	9,299,125	
シンポジウム等の開催件数		0 件	3 件	6 件	4 件		経常費用（千円）	7,148,876	11,242,578	12,290,430	9,379,508	
サイトビジット・班会議・研究者打合せ・電話会議等の実施/参加回数		37 件	43 件	120 件	115 件		経常利益（千円）	0	0	41	0	
PS/PO 会議実施回数		17 件	27 件	23 件	23 件		行政サービス実施コスト（千円）	7,148,876	11,242,578	12,237,709	9,315,605	
生活習慣病の劇的な改善、発がん予測診断等の治療反応性や副作用の予測診断の確立、うつ・認知症ゲノム医療に係る臨床	少なくとも 1 つ以上達成	0 件	0 件	0 件			従事人員数	7 人	18 人	13 人	9 人	

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

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

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

3．中長期目標、中長期計画、年度計画、主な評価軸、業務実績等、年度評価に係る自己評価及び主務大臣による評価									
	中長期目標	中長期計画	主な評価軸（評価の視点）、指標等	法人の主な実績等・自己評価		主務大臣による評価			
				主な業務実績等	自己評価	（見込評価）		（期間実績評価）	
						評価		評価	
	急速に進むゲノムレベルの解析技術の進展を踏まえ、疾患と遺伝的要因や環境要因等の関連性の解明の成果を迅速に国民に還元するため、解析基盤の強化を図るとともに、特定の疾患の解明及びこれに対する臨床応用の推進を図る。その際、ゲノム医療の実現には時間を要することから、長期的視点に立って戦略的に推進する。 具体的には、疾患及び健常者バイオバンクを構築すると共にゲノム解析情報及び臨床情報等を含めたデータ解析を実施し、疾患の発症原因や薬剤反	急速に進むゲノムレベルの解析技術の進展を踏まえ、疾患と遺伝的要因や環境要因等の関連性の解明の成果を迅速に国民に還元するため、解析基盤の強化を図るとともに、特定の疾患の解明及びこれに対する臨床応用の推進を図る。その際、ゲノム医療の実現には時間を要することから、長期的視点に立って戦略的に推進する。 具体的には、疾患及び健常者バイオバンクを構築するために、全国の患者及び東日本大震災の被災地の住民の協力を得て、生体試料や臨床情報等を収	＜評価軸＞ ・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。 ＜モニタリング指標＞ ・左記の評価軸に係る取組状況等	＜主要な業務実績＞ ■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） <u>バイオバンクの構築に向けた健常者の生体試料・健康情報等の収集</u> - 同意に基づき宮城県・岩手県の住民から生体試料及び健康情報（調査票）を収集するコホート調査を行い、これら試料・情報を広く全国の研究者の医学研究への利活用のために提供するバイオバンクを構築しており、平成 28 年度末までに、当初からの目標であった 15 万人規模の研究参加者のリクルートは計画通りに完了（地域住民コホート調査では平成 27 年度までに累計 8 万人、三世代コホート調査では平成 28 年度までに累計 7 万人の目標を達成）している。平成 29 年度には、三世代コホート調査について、里帰りや転院等で情報が得られなかった方を対象に0.2 万人の出生確認を行い、累計数が 7.3 万人に達した。 - 平成 29 年 6 月からは参加者に対する追跡・詳細二次調査を開始し、宮城県では地域住民と三世代成人・子供をあわせ 1.8 万人、岩手県ではサテライトと特定検診参加型の調査を合わせて 0.6 万人実施し、当初の目標を達成するとともに（平成 29 年度目標数 宮城県 1.75 万人、岩手県 0.6 万人）、平成 30 年度は宮城県では地域住民と三世代成人・子供をあわせ 2.34 万人、岩手県ではサテライトと特定検診参加型の調査を合わせて 0.73 万人実施し、当初の目標を達成した。（平成 30 年度目標数 宮城県 2.3 万人、岩手県 0.6 万人）	＜評価と根拠＞ 評価：A 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、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。 【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】				

	応性等の関連遺伝子の同定・検証及び日本人の標準ゲノム配列の特定を進める。	集する。疾患の発症原因や薬剤反応性等の関連遺伝子と遺伝的要因の関連を明らかにするため、収集した生体試料及び臨床情報を活用し、疾患関連遺伝子・薬剤関連遺伝子の同定等に関する研究を推進する。日本人の標準ゲノム配列の特定を進めるために、協力者から提供頂いた生体試料を用いて全ゲノムデータ解析を行う。	・試料・情報分譲について、平成 28 年度までに 1 万人規模の全ゲノムリファレンスパネルの対象者について、DNA、健康調査情報、ゲノム配列情報の分譲を開始しているが、平成 29 年度はさらにこれを拡大し、2.3 万人規模の SNP アレイ解析とインピュテーション技術により復元したゲノム配列情報または次世代ゲノムシークエンサー解析によるゲノム配列情報、試料、血液・尿検査情報、アンケートの調査票由来の罹患歴、生活習慣情報などの健康調査情報の分譲を平成 29 年 2 月より開始、岩手県地域住民 8300 人分の生体試料、生理機能検査情報などの分譲受付を平成 30 年 3 月に開始した。平成 30 年度末時点の累計で、分譲 21 件、共同研究 129 件、商用利用 1 件が承認されている。また、今後全国の研究者が、遠隔地から東北メディカル・メガバンク機構のスパコンにアクセスして、個人毎の遺伝子変異情報などの個人同定性の高い情報を、セキュリティを担保しつつ利活用できるようにするために、平成 27 年度第 2 回調整費により、複数の研究機関について VPN 拠点の整備に着手し、平成 30 年度末までに累計 19 拠点の遠隔セキュリティルームから VPN 回線を介したアクセスが可能になり、前年比 2.16 倍の利用促進効果があった。 <u>ゲノム医療研究のための基盤構築と提供</u> ・日本人標準ゲノム配列を特定することは、日本人特有のゲノム配列も考慮したゲノム解析ができる基盤として極めて重要であり、日本人全ゲノムリファレンスパネルの規模と精度の拡充を目指した。他コホートとの連携のもと、数千塩基以上の構造多型を詳細に解明するため、合計 3 人の日本人について、平成 30 年度にはこれまで全ゲノム解析に広く利用されてきた国際基準ゲノム配列の問題点を根本的に解決した日本人基準ゲノム配列（JRG1）の初版となる JG1 構築に成功し、2 月に公開した。前バージョン JRGv2 に比べ月平均 DL 率が約 660%up するなど反響も大きく、これにより日本人全ゲノムリファレンスパネルの精度向上、がんゲノム解析、さらには日本人特有の疾患感受性や薬剤感受性に寄与するゲノム配列変化の解明などが大きく進展することが期待できる。 ・これまで、コホート調査参加者の全ゲノム解析により構築し、公開してきた全ゲノムリファレンスパネルについて、平成 29 年度には、同計画参加者に加え、国立病院機構長崎医療センターやながはま 0 次予防コホート事業への協力者分も含め 3,554 人分に拡充・公開した。平成 30 年度には 6 月に X 染色体・ミトコンドリアゲノム上の 200 万個を	・健常者バイオバンクの構築については、東北メディカル・メガバンク計画において、すでに構築済みの 15 万人規模の健常者バイオバンクに加え、追跡・詳細二次調査を計画通り実施、日本人の全ゲノムリファレンスパネルを 3.5KJPNv2 にまで拡充、日本人のゲノム研究に欠くことのできない日本人基準ゲノム配列 JG1 の公開など着実に取組を実施した点は高く評価できる。 ・BBJ、NCBN と連携し、メタボローム解析の世界標準化およびデータ分譲への取組に加え、バイオバンクの試料・情報の利活用の一環としてセキュリティは担保しつつも積極的に各種データ分譲対象の拡大や解析ツール等の公開を実施しており、新たなバイオバンクの在り方として非常に先導的であり評価できる。 【患者のバイオバンクの構築】 ・疾患バイオバンクとして、患者の DNA・臨床情報や生体試料の取集を着実に進め、品質の取組みにも取り組むとともに、平成 30 年度からは、ゲノム研究バイオバンク事業として、試料・情報の一層の利活用促進を通じたゲノム研究の推進を図っており、評価できる。 【ゲノム研究プラットフォームの構築】 ・研究支援に特化した活動を効果的に展開するため、有識者によるモニタリング・ボード及び分科会を核とする PDCA 実施体制を構築し、運用を開始した点は	
--	--------------------------------------	--	--	---	--

			超える一塩基バリエーション (SNV) を発見しパネルに収載し、国際標準に準拠したデータ解析手法に更新した 3. 5KJPNv2 をリリースし、11 月にはこれを拡張し、研究コミュニティから問い合わせの多かったゲノムの挿入・欠損配列 (insertion and deletion : Indel) の頻度情報に加え、1 塩基毎の平均深度データ、変異情報をタンパク質立体構造上にマッピングするツール、全ゲノム解析済み約 4000 人のゲノム解析レポジトリ情報等を公開し、3. 5KJPN に比べ 3. 5KJPNv2 の月平均 DL 率が 139%up した。全ゲノムリファレンスパネルにより、未診断疾患イニシアチブ (IRUD) 全体で 2700 例以上の未診断疾患の方について半年以内に解析結果を返却可能とすることに貢献した。 ・従前は日本人 1,000 人規模の血漿オミックス解析データを元に参照パネルを作成していたところ、平成 29 年度までに、コホート調査に参加した日本人 5,093 人分の血漿オミックス解析を完了、平成 30 年度は血漿中代謝物やタンパク質の分布情報などを含むオミックス情報を 1 万人超に拡張し、jMorp で公開した。これにより、代謝物の分布が飛躍的に高精度となり、参照パネルとしての信頼性を大幅に向上させ、前年度比 2.7 倍の jMorp 利用実績を得た。 ・エピゲノム解析の標準化およびデータ分譲のため、多目的コホート研究 (JPHC Study)、日本多施設共同コホート研究 (J-MICC STUDY)、久山町研究、山形大学分子疫学コホート研究、鶴岡みらい健康調査、バイオバンク・ジャパン (BBJ)、ナショナルセンターバイオバンクネットワーク (NCBN) と連携し、異なる検体処理方法による影響を補正する手法を開発した。平成 30 年度は、さらに機能不明な遺伝子多型の意味付けのため、末梢血単核球 (PBMC) 約 400 名の多層オミックス解析を実施し、DNA メチル化、または遺伝子発現に影響を与える多型についての全ゲノム網羅的関連解析 (mQTL、eQTM、eQTL) を行い、データベースにて公開した。さらに、これまでに蓄積した知見をもとに小規模なエピゲノム関連解析を実施し、DNA メチル化マーカーの同定に有用な DNA メチル化キャプチャプローブセットの情報を合わせて公開した。 ・超高齢化社会の到来で問題となっている認知症を含む精神・神経疾患関連遺伝子研究など、喫緊に対処すべき多因子疾患研究を加速させ、産官学が一体となった真のオールジャパンのゲノム医療を活性化させるため、大規模ゲノムデータの解析と分譲を前倒しで実施することとし、ゲノム抽出～分注パイプラインの並列化・情報管理化によりゲノム解析に至るラインを増強、アレイ解析 (0.35 万人分) に	評価できる。 ・ゲノム医療研究支援として、バイオバンクの一覧をはじめ、研究基盤となる「バイオバンク」「情報」「ELSI」それぞれの整備に尽力している研究者にも注目する情報ポータルサイトを構築したことも評価できる。。 ・さらに、データシェアリング推進にあたり、データシェアリングポリシーの適用拡大やデータシェアリングの国際連携を進めるとともに、JST-NBDC 及び DDBJ 等の関係機関と協働し、AGD を構築したことは高く評価できる。 【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】 ・本研究により開発した手法を用いて、今まで疾患原因となるゲノム変異が同定されたこと、新規抗パーキンソン病薬の発見、2 型糖尿病について日本人特異的な異領域の発見など、順調に進捗している。	
--	--	--	--	--	--

			より導入システムを検証（平成 29 年度第 2 回調整費）、平成 30 年度はそれを駆使し 6.2 万人の解析を実施（平成 30 年度第 1 回調整費）、MRI 撮像も 1 万人を超えるなど軽度認知症のための解析基盤確立に向け、取得データのクリーニングを行っている。MRI 撮像 1 万人超のアナウンスを実施機関 HP に掲載後 2 ヶ月でアカデミア以外に企業の問い合わせが 2 件あるなど、当該分野における MRI 画像データを含む分譲への期待感が高まっている。 ■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） <u>バイオバンクの構築に向けた患者の DNA・臨床情報の収集</u> ・東京大学医科学研究所のバイオバンクジャパンでは、平成 25 年度から平成 29 年度末までに、12 医療機関の協力を得て、38 疾患について患者より DNA 及び臨床情報を収集した。（第 2 コホート）（H25 からの累計同意取得数：68,516 件、DNA 採取数：67,294 件） 【バイオバンクの利活用の促進】 ・平成 30 年度より、ゲノム研究バイオバンク事業として、公募にて採択した東京大学医科学研究所により、これまでに構築したバイオバンクジャパンの試料・情報をユーザーへ効果的に分譲するためのデータベースや検索システムの開発と運用を開始した。平成 30 年度は従来の実績を大きく上回る配布を行った。（DNA88,867 件、血清 3,771 件、臨床情報・ゲノム情報 27,072 件、検索システム利用 574 件） ・さらに、バンク試料の活用幅を広げる血清パネルの作成に着手し、2019 年度からの配布開始の準備を整えた。 <u>病理組織検体の品質管理に向けた取組</u> ・東京大学医学部附属病院病理部に設置されているゲノム病理標準化センターにおいて、ゲノム研究のための質の高い病理組織検体の採取法・バンキングのためのプロトコール（「ゲノム研究用病理組織検体取扱い規程」）の講習会を開催した。（平成 27 年度～平成 29 年度） <u>血清・血漿検体の品質評価に向けた取組</u> ・バイオバンク・ジャパンに収集された血清検体の採血から保存までの管理状態、保存状態を評価するため、東北メディカル・メガバンク計画および NCBN と連携して、プロテオミクスを用いた新規安定性マーカーとそれを利用した評価手法を開発した。評価手法の開発にあたっては、日本製薬工業協会の意見を聴取し手法へ反映した。			
--	--	--	--	--	--	--

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

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

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

			・ 左記の評価軸に係る取組状況等 ・ 感染症領域では、B 型肝炎ワクチン応答性に関わる遺伝的要因、慢性 B 型肝炎の感染から発がんに転化する遺伝的要因を解明した。 ・ 東北メディカル・メガバンク計画において、未診断疾患イニシアチブ（IRUD）診療体制と連携し、病因解明のための病的変異の絞り込みに必須な健常人コントロールとして、全ゲノムリファレンスパネルの全 1 塩基バリエントをはじめとするバリエント頻度情報の提供を継続して行った。未診断疾患イニシアチブ（IRUD）全体で 800 例以上の未診断疾患の方について半年以内に解析結果を返却可能とすることに貢献した。 ・ IRUD、難プラと連携して、疾患関連変異のデータ共有を推進する。 ■ 臨床ゲノム情報統合データベースの整備 ・ 「臨床ゲノム情報統合データベース整備事業」では、クリニカルシーケンスにより見いだされた疾患感受性バリエント情報を疾患横断的に集約した統合データベース MGeND（Medical genomics Japan Variant Database）を構築し、本事業で採択された疾患領域別の研究開発課題（希少・難治性疾患領域、がん領域、感染症領域、認知症・その他領域）において行われたゲノム解析結果を登録、日本人の疾患感受性バリエント情報を公開した。 ・ MGeND に登録されたデータの品質管理の体制整備を進める。 ■ 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 ・ ゲノム医療実用化推進研究事業において、がんの個別化治療のためのクリニカル・シーケンス（FFPE のシーケンス）を行い、解析結果はエキスパート会議にて臨床的意義づけを行い、主治医に報告した。また、米国 CLIA 準拠の遺伝子検査室を医療機関内に初めて開設し、実診療に近い形で 100 例の解析を行い、品質が確保された結果を担当医に報告するまでの時間を短縮した。 ・ がんの個別化予防のためのクリニカル・シーケンスでは、遺伝性腫瘍あるいはそれを疑われる症例に対する既知の原因遺伝子の変異検索法として汎用性のある多遺伝子パネル NCCConcopanel FCv1.0 の作製に加え、基本的に公開されているツール群を組み合わせ多遺伝子パネルのデータの品質検査・変異コール・アノテーションを行う GUI である csDAI を開発した。 ・ クリニカル・シーケンスの現場の状況把握に基づく検討	エンス等の実施体制及び臨床情報とゲノム情報等を集積したデータストレージとそれらの情報を集約する体制を整備したことは評価できる。 【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】 ・ 計画通りの成果が得られており、評価できる。	
--	--	--	---	--	--

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

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

	これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、 ・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 ・発がん予測診断、抗がん剤等の治療反応性や副作用の予測診断に係る臨床研究の開始・うつ、認知症・感覚器系領域のゲノム医療に係る臨床研究の開始 ・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 を目指すものとする。2020年までに、上記の達成目標のうち少なくとも1つ以上達成することを目指すものとする。	これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、 ・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 ・発がん予測診断、抗がん剤等の治療反応性や副作用の予測診断に係る臨床研究の開始・うつ、認知症・感覚器系領域のゲノム医療に係る臨床研究の開始 ・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 を目指すものとする。2020年までに、上記の達成目標のうち少なくとも1つ以上達成することを目指すものとする。	＜評価指標＞ 【2020 年までの達成目標】 ・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 ・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 ・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 ・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 ＜モニタリング指標＞ ・応募件数及び採択件数 ・事業に参画している研究者延べ人数 ・PMDA への薬事戦略相談を行った研究開発課題数 ・機動的な研究推進のため年度内に契約変更を実施した課題数	■医療分野研究開発推進計画 達成すべき成果目標（KPI） ・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。 さらに、平成 30 年度の公募において、糖尿病等にかかる腎臓病の予後層別化と最適化医療の確立を目指して精緻な疾患レジストリーと遺伝・環境要因の包括的解析を実施する課題を採択し、研究開発を開始するとともに、循環器疾患のゲノム医療実現を目指して、本疾患のゲノム解析から社会実装まで目指す課題を採択し、研究開発を開始した。 ・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」では、がん遺伝子パネルを開発し、クリニカルシーケンスを行うことで治療反応性や副作用の予測診断に必要な基盤的情報を構築している。今年度より NCC オンコパネルや Today OncoPanel を用いた遺伝子検査を先進医療で開始しており、解析結果に基づいて治療方針を決定するなど、臨床研究を開始した。 また、2018 年 12 月 25 日に NCC オンコパネルシステムが体外診断用医薬品・医療機器として承認された。 「ゲノム創薬基盤推進研究事業」では、チオプリン製剤に対する不耐患者を判別するための遺伝子検査キットの開発を行い、2018 年 4 月に体外診断用医薬品として製造販売承認を取得、7 月に発売を開始しており、臨床研究を行ったといえる。さらに、チオプリン製剤に対する不耐患者を判別するための遺伝子検査キットは 2019 年 2 月より			
--	--	--	---	---	--	--	--

			保険収載になることが 2019 年 1 月に承認された。 なお、平成 27 年度から開始した「オーダーメイド医療の実現プログラム」では、乳がんの原因とされる 11 遺伝子について、バイオバンク・ジャパンにより収集された日本人の乳がん患者群 7,051 人および対照群 11,241 人の DNA を解析し、遺伝性乳がんの「病的バリエーションデータベース」を構築しており、日本の乳がん患者一人一人にあった治療を行う「ゲノム医療」に貢献すると期待できる。 ・ 認知症・感覚器系領域のゲノム医療に係る臨床研究の開始： 「臨床ゲノム情報統合データベース整備事業」では認知症・感覚器系の領域の疾患に対してクリニカルシーケンスを行い、臨床研究を行っている。また、難聴の領域では一部のクリニカルシーケンスが保険収載されている。収集された臨床情報およびクリニカルシーケンスで得られた遺伝子変異情報のうち、非制限公開可能な情報は 2018 年 3 月に公開された MGeND に登録され、公開されている。 ・ 神経・筋難病等の革新的な診断・治療法に係る臨床研究の開始： 「臨床ゲノム情報統合データベース整備事業」では希少・難病疾患に対してクリニカルシーケンスを行い、一部で確定診断を得るなど、臨床研究を行っている。遺伝性筋疾患においては、原因遺伝子をほぼ全てカバーする解析パネル、遺伝子パネルを開発し、遺伝子診断サービスを行った。また、神経難病においては分子遺伝学的背景の解明および全国の症例の診断精度向上に貢献した。収集された臨床情報およびクリニカルシーケンスで得られた遺伝子変異情報のうち、非制限公開可能な情報は 2018 年 3 月に公開された MGeND に登録され、公開されている。 <モニタリング指標> <table><tr><td></td><td>H27</td><td>H28</td><td>H29</td><td>H30</td></tr><tr><td>応募件数及び採択件数</td><td>24 件、 8 件</td><td>119 件、 30 件</td><td>34 件、 5 件</td><td>28 件、 7 件</td></tr><tr><td>事業に参画している研究者延べ人数</td><td>144</td><td>311</td><td>148</td><td>877</td></tr><tr><td>PMDA への薬事戦略相談を行</td><td>0</td><td>0</td><td>0</td><td>2</td></tr></table>		H27	H28	H29	H30	応募件数及び採択件数	24 件、 8 件	119 件、 30 件	34 件、 5 件	28 件、 7 件	事業に参画している研究者延べ人数	144	311	148	877	PMDA への薬事戦略相談を行	0	0	0	2			
	H27	H28	H29	H30																						
応募件数及び採択件数	24 件、 8 件	119 件、 30 件	34 件、 5 件	28 件、 7 件																						
事業に参画している研究者延べ人数	144	311	148	877																						
PMDA への薬事戦略相談を行	0	0	0	2																						

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

4. その他参考情報
特になし。

1. 当事務及び事業に関する基本情報			
I－(2)―⑥	(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施 ⑥疾患に対応した研究<がん>		
関連する政策・施策	－	当該事業実施に係る根拠（個別法条文など）	国立研究開発法人日本医療研究開発機構法（平成 26 年 5 月 30 日法律第 49 号）第 16 条
当該項目の重要度、困難度	重要度、優先度等は高い	関連する研究開発評価、政策評価・行政事業レビュー	健康・医療戦略の実行状況と今後の取組方針 2017（平成 29 年 7 月 26 日健康・医療戦略推進本部決定） 医療分野研究開発推進計画の実行状況と今後の取組方針 2017（平成 29 年 7 月 26 日健康・医療戦略推進本部決定） 政策評価・行政事業レビュー（内閣府 0034、文部科学省 0252、厚生労働省 884-6、経済産業省 0036）

2. 主要な経年データ												
主な参考指標情報							②主要なインプット情報（財務情報及び人員に関する情報）					
	基準値等	27 年度	28 年度	29 年度	30 年度	31 年度		27 年度	28 年度	29 年度	30 年度	31 年度
応募件数		391 件	1,246 件	644 件	723 件		予算額（千円）	14,916,323	14,136,674	13,642,840	12,815,913	
採択件数		54 件	244 件	83 件	135 件		決算額（千円）	14,609,045	13,931,411	13,446,193	12,733,781	
シンポジウム等の開催件数		3 件	4 件	4 件	3 件		経常費用（千円）	14,599,640	14,442,670	13,649,316	12,949,885	
サイトビジット実施/参加回数		279 件	290 件	291 件	265 件		経常利益（千円）	0	0	0	0	
PS/PO 会議実施回数		8 件	15 件	19 件	16 件		行政サービス実施コスト（千円）	14,599,640	14,442,670	13,433,496	12,736,127	
革新的ながん治療薬の創出に向けた治験への導出（5 年以内）	10 種以上	6 種	10 種	12 種	14 種		従事人員数	21 人	21 人	20 人	21 人	
小児がん、難治性がん、希少がん等に関して、未承認薬・適応外薬を含む治療薬の実用化に向けた治験への導	12 種以上	9 種	20 種	21 種	26 種							

	出													
	小児がん、難治性がん、希少がん等に関して、薬事承認・効能追加	1 種類以上	0 種	0 種	0 種	0 種								
	小児がん、難治性がん、希少がんに対する標準治療の確立に向けたガイドラインの作成に資する多施設共同臨床試験の実施	3 件以上（累積）	48 件（支援中）	60 件（支援中）	1 件（50 件支援中）	1 件（50 件支援中）								

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

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

	中長期目標	中長期計画	主な評価軸 （評価の視点）、指標等	法人の主な実績等・自己評価		主務大臣による評価			
				主な業務実績等	自己評価	（見込評価）		（期間実績評価）	
						評価		評価	
	がん対策推進基本計画（平成24 年6月 8 日閣議決定）に基づき策定された「がん研究10か年戦略」（平成26 年3月関係 3 大臣確認）を踏まえ、関係省の所管する研究関連事業の連携の下、がんの本態解明等に係る基礎研究から実用化に向けた研究まで一体的に推進する。 具体的には、我が国でリードすべき基礎研究の有望な成果を厳選し、実用化に向け	がん対策推進基本計画（平成24 年6月 8 日閣議決定）に基づき策定された「がん研究10か年戦略」（平成26 年3月関係 3 大臣確認）を踏まえ、関係省の所管する研究関連事業の連携の下、がんの本態解明等に係る基礎研究から実用化に向けた研究まで一体的に推進する。 具体的には、我が国でリードすべき基礎研究の有望な成果を厳選し、実用化に	＜評価軸＞ ・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。 ・臨床・ゲノム情報基盤を整備しビッグデータを活用することによって個別化医療の実現、国際的な貢献を果たしたか。	■ ジャパンキャンサーリサーチプロジェクト（JCRP）（全体進捗管理） ・ JCRP の下で支援しているがんの本態解明等基礎的な研究開発課題から臨床研究等のより実用化に近い研究開発課題にスムーズにつなげていくため、次世代がん研究シーズ戦略的育成プログラム（P-DIRECT）／次世代がん医療創生研究事業（P-CREATE）と革新的がん医療実用化研究事業のPD/PS/POに加え、臨床ゲノム情報統合データベース整備事業および未来医療を実現する医療機器・システム研究開発事業の PO も一部参加する形でPD/PS/PO 会議を毎年度 4 回開催し、JCRP 内の各事業の活動内容の共有や意見交換、より緊密な連携に向けた取組に関する検討などを行った。 ・ P-DIRECT／P-CREATE および革新的がん医療実用化研究事業にはそれぞれヘッドクォーター／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	＜評価と根拠＞ 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、タンパク質立体構造を標的にしたがん免疫療法の開発、膵がん早期診断バイオマーカーの企業導出、喫煙と遺伝子突然変異の相関証明など、顕著な研究成果を挙げ、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、事業の枠を超えた連携強化によりサポート機関を通じ基礎から実用化まで一気通貫マネジメントの実現に向けた基盤整備、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、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、2020 年までの成果目標の一部				

	た医薬品、医療機器を開発する研究を推進し、臨床研究及び治験へ導出するとともに、臨床・ゲノム情報基盤を整備しビッグデータを活用することによって個別化医療の実現、国際的な貢献を果たす。	向けた医薬品、医療機器を開発する研究を推進し、臨床研究及び治験へ導出するとともに、臨床・ゲノム情報基盤を整備しビッグデータを活用することによって個別化医療の実現、国際的な貢献を果たす。この際、実用化に向けた医薬品・医療機器を開発する基礎研究について、有望な成果を厳選できるよう、評価委員会の質的向上を図る。	＜モニタリング指標＞ ・左記の評価軸に係る取組状況等	について適切な助言や支援を行う体制を構築した。P-DIRECT／P-CREATE では、研究支援基盤／技術支援班を設置し、技術面で課題横断的な支援を行った。 【次世代がん研究シーズ戦略的育成プログラム（P-DIRECT）（研究課題・進捗管理）】 ・平成 27 年度 AMED に移管され、3 領域、17 分野、152 課題（研究費予算総額：4,915 百万円）にて研究を推進した。 ・PS/PO 会議を平成 27 年度中に 1 回実施した。PS および PO が出席する研究代表者会議を 2 回実施し、進捗把握と事業の推進に努めた。 ・本プログラムで支援を受けた研究開発課題の成果をベースに革新的がん医療実用化研究事業に応募し採択された課題が平成 30 年度末までに 31 件あった。（うち 1 件は P-CREATE でも支援） ・本プログラムの事後評価結果をベースに、「がん研究に係るプログラムの今後の在り方に関する検討会」においてがんの基礎的研究の今後の在り方が模索され、後継の次世代がん医療創生研究事業（P-CREATE）に活かされた。 【次世代がん医療創生研究事業（P-CREATE）（研究課題・進捗管理）】 ・P-DIRECT の後継事業として平成 28 年度から開始し、5 領域、195 課題（研究費予算総額：13,952 百万円）にて研究を推進した。 ・PS/PO 会議を合計 19 回、PS/PO も参加する研究代表者会議を合計 3 回開催し、進捗把握と事業の推進に努めた。 ・P-CREATE で支援を受けた研究開発課題の成果をベースに革新的がん医療実用化研究事業に応募し採択された課題が 9 件あった（うち 1 件は P-DIRECT でも支援。また、うち 3 件はステージゲート評価による課題導出）。P-CREATE と P-DIRECT で合計すると、39 件の成果を革新的がん医療実用化研究事業の支援につなげることができた。 ・平成 27 年度にとりまとめられた「がん研究の今後の在り方に関する検討会」による提言を踏まえ、本事業では、評価委員会に企業在籍の経験をもつ創薬	（治験導出数）を前倒しで達成、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 39 件を革新がん事業につなげた。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。 ■ジャパンキャンサーリサーチプロジェクト（JCRP） ・PD/PS/PO 体制による運営を通じて、省庁や事業の枠を超えた一元的管理を実現し、適切な研究マネジメントと基礎から実用化へ一貫してスムーズにつなぐ運用を実現し、有望な成果の実用化の促進が図られた。		
--	--	---	-------------------------------	---	--	--	--

			の専門家や機構の創薬支援戦略部の陪席を得て、実用化に向けた医薬品・医療機器を開発する基礎研究を適切に評価できる体制を整え、事前評価を実施した。 ・平成 30 年度には、当該事業において過去に採択された研究開発課題によって新規公募への応募がなされた場合、事前評価の際に当該課題の事後評価結果を参考資料として活用した。 ・平成 28 年 12 月のがん対策基本法改正を踏まえ、難治性がん・希少がんについてバイオマーカー等の早期同定や治療法の早期確立を実現するための新たなシーズを探索する標的探索研究 13 件を平成 29 年度に追加採択し、うち 1 件は特に進捗が優れていたことから平成 30 年度中に評価委員会で審査した上で、次年度より応用研究タイプに移行させるステージアップを実施した。 ・第 2 期標的探索研究として平成 30 年度一次公募で 25 課題を採択し、うち 10 課題は特に進捗が優れていたことから平成 30 年度中に評価委員会で審査した上で、次年度より応用研究タイプに移行させるステージアップを実施した。また、平成 30 年度の第 1 回・第 2 回調整費を活用し、若手研究者からの提案を優先的に採択する二次公募を実施した。若手研究者による提案 21 課題を含む計 33 課題を第 2 期標的探索研究として追加採択した。 ・平成 30 年度には応用研究 65 課題を対象にステージゲート評価を実施し、7 課題を研究支援打ち切り（うち 1 課題は支援を希望しなかったため終了）、3 課題を革新的がん医療実用化研究事業に移行させた上で、55 課題を平成 31 年度より 3 年間応用研究タイプとして継続支援することとした。さらに、標的探索研究タイプの中から PO により推薦された、特に進捗の優れた課題を候補として、応用研究タイプへ移行させるトラックを新たに設定し、平成 30 年度中にステージアップ評価を実施。上述の標的探索研究、計 11 課題を早期終了した上で、応用研究タイプとして採択し、平成 31 年度より 3 年間支援することとした。 【革新的がん医療実用化研究事業（研究課題・進捗管理）】 ・ 6 領域に亘って平成 27 年度 192 課題、平成 28 年			
--	--	--	--	--	--	--

				度 198 課題、平成 29 年度 220 課題、平成 30 年度 225 課題の研究管理を行った。 ・ PS/PO 会議を合計 33 回、PS/PO も参加する研究代表者会議を合計 5 回開催し、進捗把握と事業の推進に努めた。 ・ 評価委員会に臨床分野、生物統計等の専門家や製薬企業での創薬経験者などを加え、評価レベルを向上させるとともに、各委員の専門性を考慮した分科会への配置によって、評価の質的向上に努めた。 ・ 平成 28 年度から当該事業において過去に採択された研究開発課題による新規公募への応募がなされた場合、事前評価の際に当該課題の事後評価結果を参考資料として活用した。 ・ 平成 29 年度にサポート機関を設立し、PD/PS/PO の指示の下、各事業の研究開発課題の進捗管理を補助し、開発方針等について適切な助言や支援を行う体制を構築した。 ・ がん関連遺伝子パネル検査の実用化に対応して、平成 29 年度には、AMED 内及び関係省庁との連絡会議を定期的で開催するとともに、がんゲノム情報をもとに行う医師主導治験の共通プロトコル、共通方針の策定・整備を行う研究や、がんクリニカルシーケンスを運営、管理できるメディカルディレクター等の専門家を育成する研究を推進した。 ・ 平成 30 年 4 月から、がんゲノム医療中核拠点病院において、がん関連遺伝子パネル検査が実施され、がんの治療方針決定において詳細なゲノム情報を活用できるようになったことを受けて、平成 30 年度には、がん関連遺伝子パネル検査等による遺伝子検査結果に基づき投与患者を特定する新規抗悪性腫瘍薬の開発および既存抗悪性腫瘍薬の適応拡大等を目指した医師主導治験の公募を実施して 4 課題を採択し、パネル検査結果に基づく治療選択肢の拡大を通じ個別化医療の実現に取り組んだ。			
	また、臨床研究及び治験で得られた臨床データ等を基礎研究等に還元し、医薬品、医療機器の開発を始めとするがん医療の実	また、機構が実施する研究において、がんに関する研究機関との連携体制を整備することにより、当該研究機関が保有	＜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	■次世代がん研究シーズ戦略的育成プログラム（P-DIRECT）における取組 ・ P-DIRECT では、研究開発課題においてゲノム解析や DDS など技術面で課題横断的に支援可能な領域でコンサルティングや共同実験などを行う研究支援基盤を整備し、効率的な研究推進をサポ	【次世代がん研究シーズ戦略的育成プログラム（P-DIRECT）／次世代がん医療創生研究事業（P-CREATE）における取組】 ・ ヘッドクォーター／サポート機関な		

	用化を加速する。 さらに、応用研究段階にある研究課題に対し、臨床研究及び治験に導出するための出口戦略の明確化を重点的に実施する。 また、医薬品、医療機器の開発をはじめとするがん医療の実用化に関わる臨床研究及び治験で新たに得られた新知見や問題点を集約して、新たに必要となる基礎研究領域を抽出し、将来を見越したがんの基礎研究の開拓を支援する。	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。 ＜モニタリング指標＞ ・左記の評価軸に係る取組状況等	ートした。 ・ P-DIRECT の研究事業の一環として NBDC での我が国初の大規模がんゲノム情報データベースの構築と公開を行った。 ・ ヘッドクォーター主催による研究倫理研修会を 2 回実施した。 ・ 次期プログラム（次世代がん医療創生研究事業（P-CREATE））においては、知財の戦略と研究倫理に関して AMED と PS/PO による事業の推進をサポートする課題を設置し、AMED 内の知的財産部との連携によりプログラムの推進を図る体制を構築した。 ■次世代がん医療創生研究事業（P-CREATE）における取組 ・ AMED の PSPO 体制を決議機関として、サポート機関による進捗情報の整理をもとに、技術支援班による技術支援マッチング会議を定期的に開催し、研究者の要望に応じたタイムリーな技術支援を行った。 ・ P-CREATE の研究事業の一環として NBDC との連携を前身事業（P-DIRECT）に引き続いて実施し、データ共有やデータ公開に取り組んだ。 ・ サポート機関による研究倫理研修会を合計 5 回開催し、研究倫理指針の基本的事項やゲノム関連研究に係る個人情報保護法の改正に伴う各種研究開発指針改訂の動きに研究者がいち早く対応できるように支援した。 ■革新的がん医療実用化研究事業における取組 ・ サポート機関において、海外のがん研究や臨床試験の実施状況等のデータ分析を行い、PD/PS/PO や P-CREATE のサポート機関などに共有を行った。 ■臨床研究・治験で新たに得られた新知見・問題点を踏まえた新たな基礎研究領域の開拓のための取組 ・ 次世代がん医療創生研究事業の平成 28 年度公募では、革新的がん医療実用化研究事業の中で得られたリバース・トランスレーショナル・リサーチ	らびに研究支援基盤／技術支援班を整備し、研究開発課題の進捗に応じて適時適切な技術支援を提供することで、有望シーズの速やかな育成を推進した。 ・ AMED のマネジメントによって有望な成果を事業内または事業間で次のステージにスムーズに移行させる仕組みを構築し、基礎研究から実用化へ一貫してつなぐプロジェクト運用を可能にした。 【革新的がん医療実用化研究事業における取組】 ・ サポート機関の設立により、臨床研究・ゲノム研究を含む研究開発課題のデータシェアリングの基盤が構築され、異分野技術の融合を通じたリバーストランスレーショナルリサーチを推進するための環境が整備された。 【臨床研究・治験で新たに得られた新知見・問題点を踏まえた新たな基礎研究領域の開拓のための取組】 ・ 企業向け成果報告会の開催や研究開発課題紹介リーフレット集の配布等によって、製薬企業とアカデミア間の相互理解を通じて、研究成果の企業導出の促進に取り組んだ。 ・ 若手ワークショップや若手研究者の海外派遣等の人的交流や、がん分野の若手研究者の斬新な視点による研究提案等への支援によって、将来を担う若手ががん研究者の育成に取り組んだ。		
--	--	--	---	---	--	--

				の成果に基づく課題を優先的に採択する旨、公募要領に明記した。 - 革新的がん医療実用化研究事業では、PS/PO 会議を合計 33 回開催し、新たな研究領域や公募領域等について検討を行い次年度の公募要領に反映させた。平成 30 年度二次公募では、支持・緩和療法のプレシジョン・メディシンの実現に資するリバーズ・トランスレーショナル・リサーチを募集し、該当する新規課題を採択した。 - 研究成果の企業導出を通し実用化を促進するための取組として、製薬協や臨薬協の協力を得て、次世代がん医療創生研究事業と革新的がん医療実用化研究事業の合同で企業向け成果発表会を H28 年度と H29 年度の 2 回開催し、企業とアカデミアのニーズの把握や、相互理解の促進を図った。2 度の成果報告会によって AMED 事業への理解が浸透しつつあると考えられたことから、平成 30 年度は研究課題紹介リーフレット集を作成、製薬協や臨薬協からの案内を通じて登録した数十社の企業関係者に配布し、要望に応じた個別面談サポートなど提携を促す環境を提供した。 - がん研究費配分機関の多国間の協力組織である ICRP（International Cancer Research Partnership）が構築した世界最大規模のがん研究費配分データベースを活用し、がん研究分野の世界的動向をいち早く把握・俯瞰し、AMED として公募策定等の戦略立案に役立てるため、平成 31 年 2 月に ICRP へ正式メンバーとして加盟した。 - 難治性がん・希少がんを含むがん早期診断のためのバイオマーカーに関するワークショップを米国 NCI（National Cancer Institute）と合同で 4 回開催し、日米のシーズ相互評価に向けた研究協力体制の構築を進めた。 - 革新的がん医療実用化研究事業で若手リサーチレジデント 68 人を採用するとともに、次世代がん医療創生研究事業と革新的がん医療実用化研究事業で合わせて 88 名の若手研究者育成枠の採択を行い、若手人材の育成を推進した。両事業の若手研究者を中心に AMED がん若手研究者ワークショップを計 4 回開催し、のべ 135 人の若手研究者が参加、事業やプロジェクトの枠を超えて、若手研究者同士や若手研究者と経験豊かな研究			
--	--	--	--	---	--	--	--

			者との交流を促進した。さらに、計 22 人の若手研究者を海外学会や海外研究機関での研修へ派遣し、国際的に活躍できる若手研究者育成を推進した。 がん研究の社会的意義について、がん患者を含めた市民の理解を得ることを目的に、JCRP 参加事業の合同企画として市民向け成果報告会を計 4 回開催し、リモコンアンケートによる講演者との双方向のやりとり、一般来場者が研究者と直接対話できるポスター発表、臨床試験や患者参画の紹介等々、さまざまな工夫を通して、がん研究者や AMED をより身近に感じつつ理解が得られるよう努めた。			
これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、 - 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 - 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 - 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 - 小児がん、難治性がん、希少がん等のドラッグ・ラグ、デバイス・ラグ（開発ラグ）の解消に向けた、国際基準に準拠した臨床研究等の推進	これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、 - 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 - 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 - 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 - 小児がん、難治性がん、希少がん等のドラッグ・ラグ、デバイス・ラグ（開発ラグ）の解消に向けた、国際基準に準拠した臨床研究等の推進	＜評価指標＞ 【2020 年までの達成目標】 - 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 - 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 - 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 - いわゆるドラッグ・ラグ、デバイス・ラグの解消 - 小児・高齢者のがん、希少がんに対する標準治療	■医療分野研究開発推進計画 達成すべき成果目標（KPI） - 日本発の革新的ながん治療薬の治験への導出数：14 種（導出例） - 同種移植後再発難治性成人 T 細胞白血病リンパ腫に対する抗原特異的 TCR 遺伝子導入 T リンパ球輸注療法 - 難治性肉腫に対する ワクチン併用 TCR 遺伝子改変 T 細胞輸注療法 - 高齢者食道癌に対するペプチドホルモン療法 - 進行・再発固形がんに対する免疫療法 - 悪性神経内分泌腫瘍に対する 131I-MIBG 内照射療法 - 肉腫の革新的医薬：独自開発の増殖制御型アデノウイルス - 非小細胞肺がんに対する新規ペプチドワクチン維持療法高齢者食道癌に対するペプチドホルモン療法 - 小児がん、難治性がん、希少がん等に関する未承認薬・適応外薬を含む治療薬の実用化に向けた治験への導出数：26 種（導出例） - 再発膠芽腫に対する適応拡大試験 - 難治性神経芽腫に対する分化誘導療法	【革新的がん医療実用化研究事業における取組】 日本発の革新的ながん治療薬の治験への導出数：14 種（2020 年頃までの達成目標：10 種）、小児がん、難治性がん、希少がん等に関する未承認薬・適応外薬を含む治療薬の実用化に向けた治験への導出数：26 種（2020 年頃までの達成目標：12 種）など、2020 年頃までに達成すべき成果目標の一部を前倒しで達成しており、概ね順調に進捗している。		

	・小児・高齢者のがん、希少がんに対する標準治療の確立に向けた、ガイドライン（3件以上）作成に資する多施設共同臨床試験の実施を目指すものとする。	・小児・高齢者のがん、希少がんに対する標準治療の確立に向けた、ガイドライン（3件以上）作成に資する多施設共同臨床試験の実施を目指すものとする。	の確立（3件以上のガイドラインを作成） ＜モニタリング指標＞ ・応募件数及び採択件数 ・事業に参画している研究者延べ人数 ・PMDA への薬事戦略相談を行った研究開発課題数 ・機動的な研究推進のため年度内に契約変更を実施した課題数	➤ 食道扁平癌を対象とした化学放射線療法後の免疫療法の安全性・有効性試験 ➤ 難治急性リンパ性白血病に対する多剤併用療法 ➤ 胸腺癌、胸腺腫に対する抗 PD-1 抗体ニボルマブ（適応拡大） ➤ ALK 融合遺伝子陽性のⅢ期非小細胞肺癌に対する集学的治療法の開発に関する研究 ➤ オリジナル抗原 HSP105 由来ペプチドワクチン ➤ 化学療法に対する抵抗性を克服することを目的とした希少がん（悪性胸膜中皮腫）治療薬 ➤ 慢性骨髄性白血病に対する根治薬 ・小児がん、希少がん等の治療薬に関し、薬事承認・効能追加数：0 種 ※ 目標年度までの臨時承認、効能追加を目指し、医師主導治験等 42 課題の研究開発を支援中である。 ・小児がん、難治性がん、希少がん等のドラッグ・ラグ、デバイス・ラグ（開発ラグ）の解消に向けた、国際基準に準拠した臨床研究等の推進状況：小児がん、難治性がん、希少がん等のドラッグ・ラグ、デバイス・ラグ（開発ラグ）の解消に向けた、国際基準に準拠した臨床研究等を 10 課題以上で支援中。 ・小児・高齢者のがん、希少がんに対する標準治療の確立に向けたガイドライン作成数：1 件 ※ 小児・高齢者のがん、希少がんに対する標準治療の確立に向けた、ガイドライン作成に資する多施設共同臨床研究を 50 課題で支援中（小児がん 14 件、高齢者がん 9 件、難治がん 10 件、希少がん 17 件） ・応募件数及び採択件数：3,004 件及び 516 件 ・事業に参画している研究者延べ人数：10,876 人 ・PMDA への薬事戦略相談を行った研究開発課題数：37 件 ・機動的な研究推進のため年度内に契約変更を実施			
--	--	--	--	--	--	--	--

				した課題数：356 件			
--	--	--	--	-------------	--	--	--

4. その他参考情報
特になし。

1. 当事務及び事業に関する基本情報			
I－(2)―⑦	(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施 ⑦疾患に対応した研究<精神・神経疾患>		
関連する政策・施策	－	当該事業実施に係る根拠（個別法条文など）	国立研究開発法人日本医療研究開発機構法（平成 26 年 5 月 30 日法律第 49 号）第 16 条
当該項目の重要度、困難度	重要度、優先度等は高い	関連する研究開発評価、政策評価・行政事業レビュー	健康・医療戦略の実行状況と今後の取組方針 2017（平成 29 年 7 月 26 日健康・医療戦略推進本部決定） 医療分野研究開発推進計画の実行状況と今後の取組方針 2017（平成 29 年 7 月 26 日健康・医療戦略推進本部決定） 政策評価・行政事業レビュー（内閣府 0034、文部科学省 0252、厚生労働省 884-7)

2. 主要な経年データ												
主な参考指標情報							②主要なインプット情報（財務情報及び人員に関する情報）					
	基準値等	27 年度	28 年度	29 年度	30 年度	31 年度		27 年度	28 年度	29 年度	30 年度	31 年度
応募件数		205 件	200 件	30 件			予算額（千円）	8,287,920	8,140,896	7,816,250	10,345,076	
採択件数		76 件	52 件	12 件			決算額（千円）	8,264,890	7,997,910	7,808,176	10,271,750	
シンポジウム等の開催件数		3 件	1 件	2 件			経常費用（千円）	8,258,803	8,086,831	7,839,045	10,327,013	
サイトビジット・班会議・研究者打合せ・電話会議等の実施/参加回数		107 件	210 件	105 件			経常利益（千円）	0	0	13	0	
PS/PO 会議実施回数		1 件	11 件	12 件			行政サービス実施コスト（千円）	8,258,803	7,998,239	7,809,353	10,273,034	
							従事人員数	8 人	6 人	10 人	13 人	

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

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

	中長期目標	中長期計画	主な評価軸（評価の視点）、指標等	法人の主な実績等・自己評価		主務大臣による評価			
				主な業務実績等	自己評価	（見込評価）		（期間実績評価）	
						評定		評定	
	認知症やうつ病などの精神・神経疾患等の発症に関わる脳神	認知症やうつ病などの精神・神経疾患等の発症に関わる脳神	<評価軸> ・脳全体の神経回路の構造・機能の 解明やバイオマ	■BMI(ブレインマシンインターフェース) 技術を用いた研究（脳科学研究戦略推進プログラム） ・BMI の技術を用いて、身体機能の回復・代替・補完や神経疾患の革新的な予防・診断・治療法につな	<評定に至った理由> 評定：B 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				

	経回路・機能の解明に向けた研究開発及び基盤整備を各省連携の下に強力に進めることにより、革新的診断・予防・治療法を確立し、精神・神経疾患等を克服する。 具体的には、脳全体の神経回路の構造・機能の解明やバイオマーカー開発に向けた研究開発及び疾患の特性を踏まえた臨床研究の基盤整備等を推進するとともに、	経回路・機能の解明に向けた研究開発及び基盤整備を各省連携の下に強力に進めることにより、革新的診断・予防・治療法を確立し、精神・神経疾患等を克服する。 具体的には、脳全体の神経回路の構造・機能の解明やバイオマーカー開発に向け、霊長類等モデル動物の創出・活用・普及を促すとともに、神経回路の形成過程等の解析及び精神・神経疾患の分子細胞システムレベルでの解析に係る研究開発を推進する。 また、拠点や実施機関間のネットワーク化を促し、疾患の特性を踏まえた臨床研究の基盤整備等を推進する。 本領域に関わる疾患の発症や進行速度、臨床経過の特徴に鑑み、長期間の経過観察が必要な臨床研究を促進	一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。 <モニタリング指標> ・左記の評価軸に係る取組状況等	がる研究を行うことを目標として事業を推進した。また、生物学、工学、情報学（BMI 技術）の融合により治療効果を促進する技術開発を目的に研究開発に取り組んだ。 ・得られた主な成果は以下の通りである。 ➤ 自閉症を脳回路から見分ける先端人工知能技術を開発に成功。 ■霊長類の神経回路の網羅的解析（革新的技術による脳機能ネットワークの全容解明プロジェクト） ・神経細胞がどのように神経回路を形成し、どのように情報処理を行うことによって、全体性の高い脳の機能を実現しているか、コモンマーモセットを活用してその全容を明らかに、ヒトの高次脳機能の解明のための基盤を構築することを目的に事業を推進した。 ・得られた主な成果は以下の通りである。 ➤ 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。 ■ヒトとその他の霊長類において共通の手法で脳の活動を計測可能な技術開発（革新的技術による脳機能ネットワークの全容解明プロジェクト） ・霊長類の脳構造・機能マップ作成及び革新的な解析技術の開発を行う中核拠点と、その目標の達成を補完・加速する技術開発個別課題が、分科会や進捗報告会等を通じて相互に成果等をフィードバックしながら、研究開発を推進した。 ・戦略的国際脳科学研究推進プログラム（国際脳）を開始し、精神・神経疾患で異常等が認められる機能に関連するヒトと非ヒト霊長類種間比較に資するMRI 機能解剖画像データの取得、皮質下構造物や皮質・皮質下神経回路の解明に向けた技術開発、侵襲的な計測や非ヒト霊長類を用いた回路操作による神経活動及び機能的結合等による神経回路の同定に着手した。 ・得られた主な成果は以下の通りである。	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、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。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、共通 SOP の作成や研究成果を国内外へ提供する体制を構築した。IBI 等国际的な枠組み連携、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。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。 ■BMI(ブレインマシンインターフェース) 技術を用いた研究（脳科学研究戦略推進プログラム） ・身体機能の回復・代替・補完や神経疾患の革新的な予防・診断・治療法につながる研究を実施し、成果を挙げてきたことは評価できる。 ■霊長類の神経回路の網羅的解析(革新的技術による脳機能ネットワークの全容解明プロジェクト) ・脳の構造と機能のつながりを明らかにするための、脳全体の神経回路の構造・機能の解明やバイオマーカー開発に向けた研究開発成果が得られたことは評価できる。 <今後の課題> ・引き続き、霊長類（コモンマーモセット）脳全体の神経回路の構造と機能に関するマップ作成等を通じて、神経細胞レベルでの高次脳機能を解明するとともに、その障害としての精神・神経疾患の理解		
--	--	--	--	--	---	--	--

		するために必要な措置を講じる。	➤ 脳の構造と機能のつながりを明らかにするために重要な情報を供給するマーモセットの遺伝子発現の図解となる Marmoset Gene Atlas を平成 28 年にホームページで公開した。 ■脳科学研究を支える集約的体系的な情報基盤の構築（革新的技術による脳機能ネットワークの全容解明プロジェクト） ・霊長類の脳構造・機能マップの作成を実施するとともに、これに寄与する革新的な解析技術の開発等を実施するため、平成 26 年より代表機関として独立行政法人理化学研究所にて事業を開始した。その後参画機関として、慶應義塾大学・京都大学が加え、この 3 機関により基盤を構築、その後全国の様々な研究拠点の連携を得てプロジェクトを強力に推進できるよう運用を行っている。 ・革新的技術による脳機能ネットワークの全容解明プロジェクト（革新脳）の中間評価、事後評価を H30 年度に行い、後半 5 年のより効率的な実施体制に向けて、中核拠点を見直し、革新脳後半 5 年にむけた公募を実施し、新たに 25 課題を採択した。 ■精神・神経疾患分野の特性を踏まえた研究開発の基盤の整備（脳科学研究戦略推進プログラム） ・精神・神経疾患分野では、生検試料を用いた病態研究が非常に難しく、特にヒトの意思決定の過程および結果は、対人関係、すなわち相手の意思決定により自己の意思決定が影響を受けるという特性を踏まえ、研究開発の基盤の整備を進めた。 ・得られた主な成果は以下の通りである ➤ ヒト（患者）死後脳を用いた病態・病理研究基盤を整備するため、日本ブレインバンク（JBBN）の整備を促進した。 ➤ DREADD システムで一般的に用いられている Clozapine N-Oxide (CNO) より高性能な新規 PET トレーサー兼アゴニスト C22b を開発し、マカクザルを用いた行動課題と組み合わせた独創的かつ先駆的な手法を開発した。 ■疾患の臨床情報等をもとにセンター、中核拠点、臨床グループ等の研究に係る成果を蓄積・共有する体	を目指す。 ■ヒトとその他の霊長類において共通の手法で脳の活動を計測可能な技術開発（革新的技術による脳機能ネットワークの全容解明プロジェクト） ・革新脳事業で中核拠点と技術開発個別課題との連携体制を強化したこと、国際脳事業を開始しヒトとその他の霊長類の種間比較できるような体制を構築したことは評価できる。 ＜今後の課題＞ ・引き続き、ヒトと非ヒト霊長類種間比較に資する成果を目指す。 ■脳科学研究を支える集約的体系的な情報基盤の構築（革新的技術による脳機能ネットワークの全容解明プロジェクト） ・革新脳事業において、前半 5 年を踏まえて、集約的体系的な情報基盤の構築のため後半 5 年にむけた体制を見直したことは評価できる。 ＜今後の課題＞ ・引き続き、革新脳の中核拠点を中心とした体制強化を推進する。 ■精神・神経疾患分野の特性を踏まえた研究開発の基盤の整備（脳科学研究戦略推進プログラム） ・JBBN の整備を促進し、また、意思決定研究の技術開発等の基盤整備ができたことは評価できる。 ■疾患の臨床情報等をもとにセンター、中核拠点、臨床グループ等の研究に係る成果を蓄積・共有する体制の構築 ・疾患の臨床情報をまとめて研究に活用		
--	--	-----------------	--	---	--	--

			制の構築 ・霊長類の脳構造・機能マップ作成及び革新的な解析技術の開発を行う中核拠点と、その目標の達成を補完・加速する臨床グループ等が、分科会や進捗報告会等を通じて相互に成果等をフィードバックしながら、研究開発を推進した。 ・認知症等の神経変性疾患、発達障害・統合失調症、うつ病・双極性障害等を対象とした、疾患発症メカニズムの探求、新しい診断技術の開発、病態モデル動物の開発と創薬への応用を通じて、新しい疾患概念と革新的技術による治療・予防法の治験につなげることを目指し、これらの研究基盤となる脳組織等のヒト試料リソースの整備・普及等を推進した。JBBN の整備にあたり、既存の各バンクの検体情報（提供者の病歴・治療歴等の生前情報および脳以外の組織の情報等）を中核拠点にて集約・データベース管理し、研究者への提供の際の精度向上と効率化を進めた。 ・認知症関連事業について調整費を契機に AMED 内横断的に取りまとめ、連携シンポジウム等で情報共有に務めた。また、特に被験者リクルート、アウトリーチについて３省と連携を深めつつ、情報収集・発信に努めた。 ■神経細胞レベルでの高次脳機能とその障害としての精神・神経疾患の理解と治療法の導出（脳科学研究戦略推進プログラム） ・臨床と基礎研究の連携強化による精神・神経疾患の克服に向けた研究開発を推進するため、JBBN リソースを活用した治療標的シーズ探索研究を開始した。また行動選択、環境適応を支える種を超えた脳機能原理の抽出と解明目指し、研究開発を推進した。 ・得られた主な成果は以下の通りである ➤ R ケタミンの治療抵抗性うつ病治療薬再開発：平成 29 年度に米国企業に導出を達成、平成 30 年度に第 1 相および 2 相の臨床試験計画準備を推進（資金調達及びプレスリリース）、平成 31 年度に順次開始予定。平成 31 年度中の 2 相試験完了が目標。 ➤ 新規オキシトシン経鼻製剤の自閉スペクトラム症治療薬としての開発については、平成 31 年度	する体制を構築しているのは評価できる。 ■神経細胞レベルでの高次脳機能とその障害としての精神・神経疾患の理解と治療法の導出（脳科学研究戦略推進プログラム） ・オキシトシンの臨床研究をはじめ、臨床と基礎研究の融合を目指した研究、行動選択、環境適応を支える脳の研究を通じて、成果を挙げてきた。 ■本領域に関わる疾患の発症や進行速度、臨床経過の特徴に鑑み、長期間の経過観察が必要な臨床研究を促進する方策の検討 ・国際脳事業を開始し疾患の進行を捉えられる研究体制を構築したこと、融合脳事業において、具体的なシーズの実用化を見据えた研究をしてきたことについて、評価できる。		
--	--	--	--	--	--	--

				には Phase IIa 相の治験を完了見込みである。 平成 30 年度より継続して導出先を検討中。 ■本領域に関わる疾患の発症や進行速度、臨床経過の特徴に鑑み、長期間の経過観察が必要な臨床研究を促進する方策の検討 ＜戦略的国際脳科学研究推進プログラム（国際脳）における取り組み＞ ・平成 30 年度新規事業として国際脳を立ち上げ、発達期、成人期、高齢期の各ライフステージに応じて発症する疾患について健常から発症に至る縦断的な MRI 脳画像等を取得し総合的解析研究を開始した。またこれら取得した脳画像データは共有化を目指してプラットフォームの構築のための体制整備を開始した。 ＜脳科学研究戦略推進プログラムにおける取り組み＞ ・パーキンソン病等のレビー小体病の早期診断法として、FABP3 抗体と IMR 法を用いた方法および FABP3 PET プローブを医薬品開発と平行して開発中、令和元年度末にプロトタイプ開発達成を目指す。 ・平成 29 年度に血漿中 APL1 β 28 のアルツハイマー病ば病態バイオマーカーとしての開発を中止した（進捗の問題ではなく、期待した診断性能を満たさないことを科学的に結論したため）。 ■脳全体の神経回路の構造・機能の解明やバイオマーカー開発に向けた研究開発及び疾患の特性を踏まえた臨床研究の基盤整備等の推進 ・革新的技術による脳機能ネットワークの全容解明プロジェクトにおいて、中間・事後評価をふまえて後半 5 年間の実施体制等の見直しを行った。 ・戦略的国際脳科学研究推進プログラムでは、精神・神経疾患に関連する神経回路を中心に、ヒト脳と非ヒト霊長類脳の構造及び機能の領域化と相動性		
--	--	--	--	---	--	--

				解析による種間比較などを推進した。			
	認知症やうつ病などの精神・神経疾患等の発症メカニズム解明、診断法、適切な治療法の確立を目指す。	また、分子病態、環境等の要因を精密に解析することで、認知症やうつ病などの精神・神経疾患等の発症メカニズムを解明し、発症リスクの客観的な早期診断法、適切な治療法の開発を推進する。 また、機構が実施する研究において、精神・神経疾患及び長寿に関する研究機関との連携体制を整備することにより、当該研究機関が保有する研究能力やデータベース等の研究資源を戦略的に活用し、精神・神経疾患治療の実用化に貢献するとともに、認知症などのコホート研究と臨床研究の連携を促進させる。身体機能障害の代替・回復やリハビリテーションに資する新しい開発研究を推進し、医療現場での効果的	＜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。 ＜モニタリング指標＞ ・左記の評価軸に係る取組状況等	■認知症やうつ病などの精神疾患等の発症リスクの客観的な早期診断法・治療法の開発 ＜認知症研究開発事業における取り組み＞ ・「認知症施策推進総合戦略（新オレンジプラン）」に基づき、十分な確立や標準化がなされていない領域を重点的に、診断や治療、予防、ケア等について研究を推進した。 ・得られた主な成果は以下の通りである ➤ 認知症予防の日本初のシステム、健常者対象オンラインレジストリ大規模データ「IROOP」の研究から、糖尿病の既往や、日常生活活動の低下などの認知症リスク因子が抽出された。 ➤ 特定地域で多発する認知症では、認知機能障害や運動機能障害など多様な臨床省をを呈する。タウ・コンソーシアムで開発された PET 技術を用いて、タウ蓄積部位と臨床症状の関連を調べ、タウの脳内蓄積部位は患者毎に多様で、蓄積部位に関連した脳機能が障害されることを見いだした。 ＜障害者対策総合研究開発事業における取り組み＞ ・精神障害の分野において、障害全般に関するリハビリテーション等の適切な支援を提供するための研究開発、障害を招く疾病等についての病因・病態の解明、予防、診断、治療法、リハビリテーション法等の先進的・実践的な研究に取り組むと同時に、障害児・者及びその家族の生活支援、社会参加等を目指した研究を推進した。 ・得られた主な成果は以下の通りである ➤ 覚せい剤依存患者にイフェンプロジルあるいはプラセボ投与を行い、二重盲検ランダム化比較試験により探索的検証試験を実施し、治療効果検証試験（医師主導治験）に向けたプロトコール作成に進んだ。 ➤ 無拘束、在宅環境で反復記録が可能な後頸部導出の小型脳波計を開発し、睡眠ポリグラフ検査との併存妥当性検証の結果、当該機器によって精神障害における睡眠評価、睡眠ポリグラフ検査前および治験実施時の睡眠スクリーニング評価にも応用可能となった。	■認知症やうつ病などの精神疾患等の発症リスクの客観的な早期診断法・治療法の開発 ・これらの疾患に関し、早期診断法、治療法の開発研究に向けた研究を支援してきたことは評価できる。 ＜今後の課題＞ ・引き続き、必要に応じて実用化に詳しい有識者の意見を伺いながら課題を推進する。 ■認知症やうつ病などの精神疾患等の適切な治療法の開発 ・これらの疾患の治療法の開発研究に向けた研究を支援してきたことは評価できる。 ＜今後の課題＞ ・引き続き、必要に応じて実用化に詳しい有識者の意見を伺いなが、課題を推進する。 ■精神・神経疾患及び長寿に関する研究機関の連携体制の整備（再掲、取組の詳細は、疾患の臨床情報等をもとにセンター、中核拠点、臨床グループ等の研究に係る成果を蓄積・共有する体制の構築の項を参照） ・研究機関の連携体制を整備してきたことは評価できる。 ■認知症などのコホート研究と臨床研究の連携に向けた取組（認知症研究開発事業） ・オレンジレジストリをはじめとしたコホート・レジストリの体制を強化し、また、治験等への即応体制の構築に着手したことは評価できる。 ■身体機能障害の代替・回復やリハビリテ		

		な実用化を支援する。 各国における研究開発の動向を踏まえながら、脳科学や認知症に関して国際連携を推進する。		＜脳科学研究戦略推進プログラムにおける取り組み＞ ・臨床と基礎研究の連携強化により、認知症、発達障害・統合失調症、うつ病・双極性障害といった精神・神経疾患の克服に取り組んだ。 ・得られた主な成果は以下の通りである。 ➤ 麻酔薬として使用されているケタミンの光学異性体 R-ケタミンに抗うつ作用があることを見出し、新規抗うつ薬 R-ケタミンとして企業導出に成功した。また、R-ケタミンが認知症、パーキンソン病などの神経変性疾患治療薬への適応拡大へと繋がるよう支援を行った。 ➤ DecNef を応用した精神疾患の診断・治療システムの開発と臨床応用拠点の構築： 安静状態の脳が自発的に起こす活動状態を磁気共鳴撮像装置（MRI）にて記録し、計 140 個の脳部位間で作られる約 10,000 通りの同期状態（脳機能結合）の中で、真に ASD に特徴的といえる結合はごく僅か（0.2%）であることを特定した。該当する脳機能結合を用いると、ASD 当事者と非当事者（定型発達者）の間を 85%という高精度で判別できることを発見した。この精度は、本邦・米国の双方の独立データでも再現されたため、発見された脳機能結合は人種をも超えて ASD に特異的であることが示された。また、この ASD 判別技術を、統合失調症・うつ病・注意欠如多動性障害（ADHD）など他の精神疾患のデータに適用し、ASD が、うつ病や ADHD と比べ、統合失調症に類似することを明らかにした。安静状態の脳機能結合という生物学的な指標を用いて、精度・再現性の双方が高い ASD のバイオマーカーを確立し、複数の精神疾患の関係を定量的に示した本研究の成果は、世界に先駆ける画期的なものである。 ＜革新的技術による脳機能ネットワークの全容解明プロジェクトにおける取り組み＞ ・臨床研究グループにおいて、中核拠点と相互に成果等のフィードバックしながら、ヒトの精神・神経疾患等の原因究明・克服に向けた研究開発を推進した。	ーションに資する新しい開発研究の推進（BMI） ・身体機能の回復・代替・補完や精神・神経疾患の革新的な予防・診断・治療法の開発を BMI 技術を用いて実施し、成果を挙げたことは評価できる。 ■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 精神疾患に関して、在宅環境で反復記録が可能な小型脳波計を開発したことや、統合失調症に関して病前からの認知機能低下が労働時間に関与することを発見し、病態解明や治療法開発への貢献が期待されることは評価できる。	
--	--	---	--	---	--	--

			・得られた主な成果は以下の通りである。 ➤ 統合失調症をもつ人にみられる社会機能障害に、大脳皮質下領域における神経回路のかなめである視床の体積異常が関与することを発見した。視床を中心とする神経回路の機能不全が統合失調症の社会機能障害に影響することを示唆しており、統合失調症の病態解明や新たな治療法開発の契機となることが期待される。 ■認知症やうつ病などの精神疾患等の適切な治療法の開発 <認知症研究開発事業における取り組み> ・認知症に伴う行動・心理症状（Behavioral and Psychological Symptoms of dementia: BPSD）の予防・治療を包括的に行うための指針を作成し、その有用性を検証する研究を推進した。 <脳科学研究戦略推進プログラムにおける取り組み> ・臨床と基礎研究の連携強化により、認知症、発達障害・統合失調症、うつ病・双極性障害といった精神・神経疾患の克服に取り組んだ。 ・得られた主な成果は以下の通りである。 ➤ オキシトシンの投与で、自閉スペクトラム症の方の中立表情の変動の乏しさが改善することについて、検証に成功し、さらにこの改善効果は時間と共に変化することを明らかにした。 ➤ パーキンソン病蓄積タンパク質シヌクレインのマウス脳内(線条体)投与によって、3ヶ月で注入即の対側を含む広汎な病変が起ることを示した。対側の病変が脳梁離断やボツリヌス毒素の投与で阻害されることを確認し、治療薬候補の評価法としての可能性を示した。 <認知症研究開発事業における取り組み> ・臨床と基礎研究の連携強化により精神・神経疾患の克服を目指し、精神・神経疾患の発症メカニズムの探求とともに、病態モデル動物の開発と創薬への応用、新しい診断技術の開発と早期診断、新しい疾患概念と革新的技術による治療・予防法の治験につなげる研究開発を行った。特に認知症につい			
--	--	--	--	--	--	--

			ては、平成 27 年 1 月に発表された「認知症施策推進総合戦略（新オレンジプラン）」に基づき、重点的な研究開発を推進した。 ・得られた主な成果は以下の通りである。 ➤ 認知症に伴う行動・心理症状（Behavioral and Psychological Symptoms of dementia: BPSD）の予防・治療を包括的に行うための指針を作成し、その有用性を検証する研究を推進した。 ■精神・神経疾患及び長寿に関する研究機関の連携体制の整備（再掲、取組の詳細は、疾患の臨床情報等をもとにセンター、中核拠点、臨床グループ等の研究に係る成果を蓄積・共有する体制の構築の項を参照） ＜認知症研究開発事業における取り組み＞ ・国内のタウ研究者や企業と連携し、非臨床と臨床の双方向のトランスレーションを通じた、タウ蛋白を標的とした認知症の病態解明・治療法研究開発のための産官学一体からなる「タウ・トランスレーショナル・コンソーシアム」が構築された。このコンソーシアムは、タウ病態解明やタウ病変の高感度の検出するポジトロン断層撮影（PET）プローブが開発され、新規薬剤候補化合物の探索などを行った。 ・認知症に係るバイオマーカーを研究開発する公募において、多施設検証が可能な多施設共同研究チーム体制を構築することを採択条件とし、構築されたチームで共通のプロトコルを整備し、研究開発を推進した。 ・家族性アルツハイマー病に関する縦断的観察コホート研究を推進した。 ■認知症などのコホート研究と臨床研究の連携に向けた取組（認知症研究開発事業） ・臨床治験にスムーズに登録できるよう認知症の人等（前臨床期、MCI、軽度・中等度・進行期）の全国的な情報登録・追跡システムであるオレンジレジストリを本格稼働し、健常者 5,400 名、前臨床期 5,985 名、MCI 1,471 名（平成 31 年 1 月時点）の登録が進んだ。被験者の登録を進めるとともに、認知症の評価・検査方法の標準化等による臨床研究の実施支援体制の整備など、治療薬等の大規模		
--	--	--	--	--	--

			臨床研究への即応体制の構築を推進する。 ・全国 8 地域（青森県弘前市・岩手県矢巾町・石川県中島町・長野県佐久地域・島根県海士町・愛媛県中山町・福岡県久山町・熊本県荒尾市）において、認知症対策と大規模コホート研究実施に関して当該自治体および住民に周知を図り、研究をスムーズに立ち上げるための準備を行った。また現地に常駐できる臨床心理士・保健師、ベースライン調査および追跡を担当する研究者や医師の確保と教育を行った。さらにスクリーニング調査内容の標準化・コード化、また認知症・MCI・うつ病の診断を標準化するための診断手順書・症例登録票を作成した。平成 28 年度からの本格稼働に向けてデータ精度を向上させるためワークショップを行い、研究内容の徹底と調査・診断方法・手順の均一化を図った。 ■身体機能障害の代替・回復やリハビリテーションに資する新しい開発研究の推進（BMI） ・BMI 技術を用いて、身体機能の回復・代替・補完や精神・神経疾患の革新的な予防・診断・治療法の実施した。具体的には体内埋込型低侵襲 BMI、革新的 BMI リハビリテーションロボット技術の開発、DecNef 技術の開発と精神疾患治療への応用、経頭蓋磁気刺激（rTMS）の効果の解釈と脳機能操作法の確立目指し研究開発を推進した。 ・得られた主な成果は以下の通りである。 ➤ 自閉症を脳回路から見分ける先端人工知能技術を開発に成功。 ■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 ＜戦略的国際脳科学研究推進プログラム（国際脳）における取り組み＞ ・平成 30 年度新規事業として国際脳を立ち上げ、発達期では AYA 世代統合失症や自閉症等の発達障害、成人期ではうつ病や双極性障害等の気分障害、高齢期ではアルツハイマー病（AD）・パーキンソン病（PD）等についてバイオタイプ診断や治療法開発に資するバイオマーカー等の同定を目指して健常から発症に至る縦断的な MRI 脳画像等を取得し総合的解析研究を開始した。平成 3 0 年度は大規		
--	--	--	---	--	--

				模データ解析に向け関連する研究者による撮像プロトコルの検討・策定を行った。また、策定したプロトコルを用いて MRI 画像撮像を開始している。 ・長類種間比較に資する MRI 機能解剖画像データの取得、皮質下構造物や皮質・皮質下神経回路の解明に向けた技術開発、侵襲的な計測や非ヒト霊長類を用いた回路操作による神経活動及び機能的結合等による神経回路の同定に着手した。 ・先進的ニューロフィードバック法による治療法が試用され予備的な結果を踏まえ、治験プロトコルの確立を目指し、AI 技術を活用した脳画像データからバイオマーカーの開発に要する MRI 画像の解析パイプライン構築を推進している。 <認知症研究開発事業における取り組み> ・「認知症施策推進総合戦略（新オレンジプラン）」に基づき、十分な確立や標準化がなされていない領域を重点的に、診断や治療、予防、ケア等について研究を推進した。 ・アルツハイマー病患者の脳に特異的に蓄積する病的蛋白質であり、その大脳内での広がり認知症の発症と直接的に関連していることがわかっているリン酸化タウ蛋白（p-tau）を、ヒトの血液中で特異的に定量できる超高感度定量系を世界で初めて開発した。アルツハイマー病患者およびダウン症候群患者では正常対象者と比較して血液中 p-tau が高値であり、それによってアルツハイマー病の診断ができることを報告した。 ・採取が容易な血液（僅か 0.5CC）でアルツハイマー病変を早期に正確に検出することが可能となり、現在用いられている脳脊髄液（CSF）や PET イメージングの検査に匹敵する極めて高い精度のアルツハイマー病変（アミロイド蓄積）検出法を確立した。		
これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、	これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、	<評価指標> 【2020 年までの達成目標】 ・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 P	■認知症の診断・治療効果に資するバイオマーカーの確立 ・血液を用いたアルツハイマー病の簡便な早期診断・治療効果測定に資するバイオマーカーを探索し、新規アミロイドβ関連ペプチド、p-Tau、およびコレステロール代謝産物を発見した。中でも、p-Tau は神経細胞死を直接反映するとされ、脳神経	■認知症の診断・治療効果に資するバイオマーカーの確立 ・認知症の血液バイオマーカー研究、さらに画像バイオマーカーの研究も推進したことは評価できる。 ・今後は、引き続き、脳画像や血液等を用いた認知症の診断・治療効果に資する		

	資するバイオマーカーの確立（臨床POC取得1件以上） ・日本発の認知症の疾患修飾薬候補の治験開始 ・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） ・脳全体の神経回路の構造と活動に関するマップの完成を目指すものとする。	資するバイオマーカーの確立（臨床POC取得1件以上） ・日本発の認知症の疾患修飾薬候補の治験開始 ・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） ・脳全体の神経回路の構造と活動に関するマップの完成を目指すものとする。	OC取得1件以上） ・日本発の認知症の疾患修飾薬候補の治験開始 ・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） ・脳全体の神経回路の構造と活動に関するマップの完成 ＜モニタリング指標＞ ・応募件数及び採択件数 ・事業に参画している研究者延べ人数 ・PMDA への薬事戦略相談を行った研究開発課題数 ・機動的な研究推進のため年度内に契約変更を実施した課題数	萎縮・脱落を伴う認知機能低下を示す簡便な診断マーカーとして、さらには認知症の根本治療薬開発に有用な薬効評価用のコンパニオンマーカーとして期待される。 ・H30年度における達成内容： ➤ 新たに脳神経由来エクソソームによるバイオマーカー開発に取り組む課題を採択した。 ➤ 発症メカニズムの理解に基づく早期診断技術や発症予測技術の開発を目指して、脳画像解析により健常から疾患に至るアルツハイマーとパーキンソン病の責任回路とバイオマーカー同定を行う取り組みを開始している。 ■日本発の認知症の疾患修飾薬候補の治験開始 ・認知症やその前段階の人の全国的なレジストリ体制を強化し被験者の登録を進めるとともに、認知症の評価・検査方法の標準化等による臨床研究の実施支援体制の整備など、治療薬等の大規模臨床研究への即応体制の構築を推進した。 ・目標期間内の達成は難しい状況ではあるが、日本発の認知症の疾患修飾薬候補の治験開始に向けて取り組んでいる。 ・H30年度における達成内容： ➤ アルツハイマー病の超早期病態に関連する遺伝子を同定するなど、治療薬の新規ターゲット探索にも継続して取り組んでいる。 ➤ 国内における治験への即応体制を整えるためトリアルレディコホートの構築に着手した。 ■精神疾患の客観的診断法の確立 ・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2、検討中1件 ② 診療ガイドライン策定等： 策定4件、策定見込み1件 ・H30年度における達成内容： ＜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、効率化を図っている。	バイオマーカーの探索について、これまでのコホート研究やレジストリ研究で集積した生体試料や情報をさらに活用しつつ、新たな標的分子同定や測定法、診断技術の開発等の検証や実用化に向けた取組を継続する。 ■日本発の認知症の疾患修飾薬候補の治験開始 治療薬の新規ターゲット探索のほか、トリアルレディコホートの構築に着手したことは評価できる。 ・今後ののは、トリアルレディコホートを整備し治療薬等の大規模臨床研究への即応体制の構築を推進するほか、認知症の革新的な治療法を指向し、従来の仮説とは異なる発想に基づくシーズ探索研究や、臨床データ等から有望視されている萌芽的な治療方法の実証的研究についても推進する。 ■精神疾患の客観的診断法の確立 ・精神疾患に関する客観的診断法の確立や診療ガイドライン策定により、病態解明や治療法開発への貢献が期待されることは評価できる。 ・今後の取り組みとしては、引き続き、うつ病・双極性障害等の精神疾患に対する血液等を用いたバイオマーカー探索やMRI・PET等の脳画像を用いた診断法の開発を推進する。また、精神疾患の客観的診断法の導出に資する研究を実施する。加えて、精神疾患レジストリの構築・統合を通して、精神疾患に対する新規の診断補助システムの開発を推進する。 ■精神疾患の適正な治療法の確立 ・ケタミン等の開発研究を進め、病態解明		
--	--	--	---	--	---	--	--

			➤ 統合失調症、うつ病、強迫性障害、嗜癖性障害について、複数の施設または撮像機器で撮像された脳活動データに対して汎化するバイオマーカーを開発し、今後、ニューロフィードバックの治療を実施予定。 ➤ 無拘束、在宅環境で反復記録が可能な後頸部導出の小型脳波計を開発し、睡眠ポリグラフ検査との併存妥当性検証の結果、当該機器によって精神障害における睡眠評価、睡眠ポリグラフ検査前および治験実施時の睡眠スクリーニング評価にも応用可能となった。 - 統合失調症において、病前からの認知機能低下の推定値が労働時間と関連することを見出し、病前からの認知機能低下の推定値を含む関連要因により、週当たり一定時間以上働ける確率を推定する方法を開発した。 ＜診断法： 診療ガイドライン策定状況＞ ギャンブル障害において診療ガイドラインを策定した。また、アルコール依存症において診療ガイドラインを策定見込みである。 ■精神疾患の適正な治療法の確立 ・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 2 件 ②診療ガイドライン策定等： 策定 3 件、策定見込み 1 件 ・H30 年度における達成内容： ＜治療法： 臨床 POC 取得に向けた状況＞ ・うつ病の治療薬候補である R-ケタミンや S-ノルケタミンについて、抗うつ薬としての治験実施に向けて、導出先企業と連携しながら研究開発を進めている。 ・先天性ホモシステイン尿症治療薬の betaine （トリメチルグリシン）のリポジショニングによる統合失調症治療法を開発中である。 ・覚せい剤依存患者にイフェンプロジルあるいはプラセボ投与を行い、二重盲検ランダム化比較試験により探索的検証試験を実施し、治療効果検証試験（医師主導治験）に向けたプロトコール作成に進んだ。）	や治療法開発への貢献が期待されることは評価できる。 ・今後の取り組みとしては、引き続き、うつ病・双極性障害・発達障害・統合失調症等の精神疾患の適正な治療法を確立するため、基礎から臨床にわたる研究開発を推進する。診療ガイドラインの作成を継続して進める。加えて、平成 30 年度より開始した精神疾患レジストリの構築・統合を通して、精神疾患に対する治療の層別化等を目指す。また、薬物依存症、アルコール依存症、ギャンブル等依存症等の治療法の開発を推進する。 ■脳全体の神経回路の構造と活動に関するマップの完成 ・マーモセット自由行動環境下で計測する技術等により、脳の構造・機能のマッピングが進展したことは評価できる。 ・今後の取り組みとしては、引き続き脳全体の神経回路の構造と活動に関するデータ蓄積・マップ作成とともに、これに寄与する革新的な技術開発を推進する。また、精神・神経疾患に関連する神経回路を中心に、ヒト脳と非ヒト霊長類脳の構造及び機能の領域化と相動性解析による種間比較などを推進する。		
--	--	--	---	---	--	--

			・一般企業の社員がメンタルヘルスの不調を抱える同僚や部下に適切に関わるための知識とスキルを具体的に習得可能な教育研修プログラムを独自開発し、社員に対して本プログラムが有効である可能性がパイロット試験として示された。 <治療法： 診療ガイドライン策定状況> ・うつ病において診療ガイドラインを策定した。また、統合失調症において診療ガイドラインを策定見込みである。 ■脳全体の神経回路の構造と活動に関するマップの完成 ・革新脳において、マーモセット脳全体の神経回路の構造・機能マップ作成を進めている。 ・H30 年度における達成内容： ・小型蛍光顕微鏡を用いて、マーモセット大脳皮質運動野の深部の神経細胞活動を、自由行動環境下で計測することに成功した。 ・構造・機能マップ作成に必要な革新的な解析技術（超広視野顕微鏡、領野間神経活動の同時計測等）を開発した。 <モニタリング指標> <table><tr><td></td><td>H27</td><td>H28</td><td>H29</td><td>H30</td></tr><tr><td>応募件数</td><td>205</td><td>200</td><td>30</td><td>211</td></tr><tr><td>採択件数</td><td>76</td><td>52</td><td>12</td><td>61</td></tr><tr><td>事業に参画している研究者延べ人数</td><td>1523</td><td>2228</td><td>2788</td><td>3684</td></tr><tr><td>PMDA への薬事戦略相談を行った研究開発課題数</td><td>2</td><td>0</td><td>0</td><td>1</td></tr><tr><td>機動的な研究推進のため年度内に契約変更を実施した課題数</td><td>59</td><td>85</td><td>99</td><td>60</td></tr></table>		H27	H28	H29	H30	応募件数	205	200	30	211	採択件数	76	52	12	61	事業に参画している研究者延べ人数	1523	2228	2788	3684	PMDA への薬事戦略相談を行った研究開発課題数	2	0	0	1	機動的な研究推進のため年度内に契約変更を実施した課題数	59	85	99	60			
	H27	H28	H29	H30																																
応募件数	205	200	30	211																																
採択件数	76	52	12	61																																
事業に参画している研究者延べ人数	1523	2228	2788	3684																																
PMDA への薬事戦略相談を行った研究開発課題数	2	0	0	1																																
機動的な研究推進のため年度内に契約変更を実施した課題数	59	85	99	60																																

特になし。

1. 当事務及び事業に関する基本情報			
I－(2)―⑧	(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施 ⑧疾患に対応した研究<新興・再興感染症>		
関連する政策・施策	－	当該事業実施に係る根拠（個別法条文など）	国立研究開発法人日本医療研究開発機構法（平成 26 年 5 月 30 日法律第 49 号）第 16 条
当該項目の重要度、困難度	重要度、優先度等は高い	関連する研究開発評価、政策評価・行政事業レビュー	健康・医療戦略の実行状況と今後の取組方針 2017（平成 29 年 7 月 26 日健康・医療戦略推進本部決定） 医療分野研究開発推進計画の実行状況と今後の取組方針 2017（平成 29 年 7 月 26 日健康・医療戦略推進本部決定） 政策評価・行政事業レビュー（内閣府 0034、文部科学省 0252、厚生労働省 884-8)

2. 主要な経年データ												
①主な参考指標情報							②主要なインプット情報（財務情報及び人員に関する情報）					
	基準値等	27 年度	28 年度	29 年度	30 年度	31 年度		27 年度	28 年度	29 年度	30 年度	31 年度
応募件数		88 件	102 件	320 件	91 件		予算額（千円）	4,781,658	5,387,395	5,736,802	7,625,704	
採択件数		31 件	28 件	54 件	30 件		決算額（千円）	4,768,067	5,328,953	5,439,515	5,851,206	
シンポジウム等の開催件数		2 件	1 件	4 件	2 件		経常費用（千円）	4,768,067	5,255,126	5,435,273	5,797,701	
サイトビジット・班会議・研究者打合せ・電話会議等の実施/参加回数		130 件	138 件	156 件	196 件		経常利益（千円）	0	0	-25	0	
PS/PO 会議実施回数		59 回	48 回	38 回	4 回		行政サービス実施コスト（千円）	4,768,067	5,314,233	5,325,188	5,784,679	
事業に参加している研究者の延べ人数		906 人	807 人	800 人	648 人		従事人員数	25 人	25 人	16 人	12 人	

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

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

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

						評価		評価	
	新型インフルエンザなどの感染症から国民及び世界の人々を守るため、感染症に関する国内外での研究を各省連携して推進するとともに、その成果をより効率的・効果的に治療薬・診断薬・ワクチンの開発等につなげることで、感染症対策を強化する。 具体的には、インフルエンザ、結核、動物由来感染症、デング熱、薬剤耐性菌、下痢症感染症、HTLV－1（ヒトT細胞白血ウイルス1型）、ジカウイルス感染症など、国内外の様々な病原体に関する疫学的調査及び基盤的研究並びに予防接種の有効性及び安全性の向上に資する研究を実施し、感染症対策並びに診断薬、治療薬及びワクチン開発を一体的に推進する。	新型インフルエンザなどの感染症から国民及び世界の人々を守るため、感染症に関する国内外での研究を各省連携して推進するとともに、その成果をより効率的・効果的に治療薬・診断薬・ワクチンの開発等につなげることで、感染症対策を強化する。 具体的には、国の定める推進計画等に従って、新興・再興感染症や新型インフルエンザ等の国内への流入・まん延防止に必要なワクチン等の予防法・診断法の開発、病態・感染機序の解明、感染リスク評価、国内外の関係機関との調査研究協力を進めるとともに、機構が実施する研究において、感染	＜評価軸＞ ・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。 ＜モニタリング指標＞ ・左記の評価軸に係る取組状況等	■感染症対策並びに診断薬、治療薬及びワクチン開発等の一体的な推進 ・「新興・再興感染症に対する革新的医薬品等開発推進研究事業」（以下「新興・再興感染症事業」という。）で支援した研究課題において、感染症対策並びに診断薬、治療薬及びワクチン開発等の一体的な推進に向けた支援を行った。主な取組み及び成果は以下のとおり。 ➤ インフルエンザの感染防御に有効で、現在使用されている注射型ワクチンと比べ多様な流行株にも効果を有するとされる新規経鼻インフルエンザワクチンの開発に関する研究開発課題に対して、実用化に向けた成果創出への取組に沿った研究支援を行い、その成果創出の加速を図った。その結果、国内初の不活化経鼻インフルエンザワクチン実用化に向け第Ⅰ相臨床試験（企業治験）が平成27年10月より開始されるとともに、平成29年度第Ⅱ相試験が完了し、現在第Ⅲ相試験を実施中。さらなる成果として、多量体IgA抗体の存在と効果を世界で初めて発見し、経鼻インフルエンザワクチンの効果を裏付ける結果を確認した。また、四量体型SIgA抗体を作製する技術を新規開発し、単量体や二量体、四量体のIgA抗体を人工的に作製することに成功した。本技術を用いることで、SIgA抗体は四量体化すると単量体では不活化できないウイルスも不活化できることが明らかとし、その効果について検証を行った。 ➤ 高病原性鳥インフルエンザ感染症の国際連携研究の推進のため、追加支援を行い新たにエジプトとの連携体制を強化した。 ➤ 高病原性H7N9鳥インフルエンザウイルスの特性に関する研究について中国の患者から分離された高病原性H7N9鳥インフルエンザウイルスの特性を解明した。本ウイルスが、哺乳類間で飛沫感染すること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。 ➤ 韓国での中東呼吸器症候群(MERS)の流行を踏まえ、MERS関連の研究開発課題について迅速な追加配賦を行い、迅速診断法の改良・ワクチン開発の加速を支援した。その結果、MERSとインフルエンザを同時に検出可能なMERS-Flu LAMP法	＜評定と根拠＞ 評定：A PSPO 及び事業担当によるタイムリーな助言や適切な課題管理を行った結果、ノロウイルスワクチンシーズの企業導出、ジカウイルス感染症の迅速診断法の製造販売承認取得、結核治療用DNAワクチンの治験開始、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、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、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、亜急性硬化性全脳炎を引き起こすことがある麻疹ウイルスに対して感染阻害効果を示す阻害剤の作用メカニズムの解明、など顕著な研究成果を挙げ、グローバルヘルスに資する実用化研究を推進した。新事業感染症研究革新イニシアティブ（J-PRIDE）立ち上げにあたり、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的課題30課題を採択し支援を開始し、若手研究者・課題間の交流や情報交換、国際連携を促す取り組みを積極的に行った。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。若手中心のJ-PRIDE研究者による国				

		症に関する研究機関との連携体制を整備することにより、当該研究機関が保有する研究能力やデータベース等の研究資源を戦略的に活用し、感染症治療治療法の実用化等を支援する。		の作製に成功した。この機構の支援によって開発された検出法を利用することで、国立感染症研究所における確定検査の一層の改良が可能となった。（これにより 2015 年 11 月までに 5 件の行政検査を実施し、全検体陰性という結果を迅速且つ正確に確認した。さらに、希望した地方衛生研究所へ陽性コントロールの配布を行うことで、一次スクリーニングの精度管理に繋げることが可能になり、国のサーベイランス体制改善の一助となった。）また、MERS の迅速診断法に関しては、サウジアラビアの大学と共同研究を実施し、現地での臨床検体を用いた臨床性能試験を実施した。 ➤ リアルタイムに地域のウイルス性呼吸器感染症の発生動向を把握可能なネットワークシステムの構築のため、検疫所・地方衛生研究所等と協力し、インフルエンザ、MERS、麻しん・風しん等、ウイルス性呼吸器感染症を引き起こす様々な病原体を同時に鑑別診断可能な LAMP 法を基盤とした全自動 POC 迅速遺伝子検査システムの開発を進めた。 ➤ 中南米を中心に世界的に流行したジカ熱に対する対策を強化するために、国立感染症研究所・大学等研究機関・企業の連携に加え、ブラジル研究機関との連携を推進し、ジカウイルス感染症に対する国際連携ワークショップを 2 回開催した。また、ブラジル研究機関主催の現地巡回による臨床検体収集のためのキャラバンへ研究者を派遣し、ジカウイルス感染症由来の胎盤や血液等サンプルを得て、共同研究を実施した。調整費を活用しジカウイルスワクチン開発、ジカウイルス迅速診断法開発等を支援した。その結果、ジカウイルスワクチンについては、選定したワクチンシーズについて、治験薬の製造、非臨床試験を完了し、企業治験にむけた準備を実施した（2019 年 2 月に PMDA 対面助言実施）。また、ジカワクチンターゲットプロダクトプロファイル（TPP）作成を目的とした産官学連携によるワーキンググループを立ち上げ、TPP 検討会を実施するなど、ワクチン開発に向けた取り組みが進展した。ジカウイルス迅速診断法については、LAMP 法を用いた迅速診断法開発を推進し、ジカウイルス迅速診断キットの製造販売承認を平成 30 年 6 月に取得した。 ➤ ノロウイルスワクチンについては、第 1 世代ノロ	際共同研究の支援等、研究者育成、人的交流、国際連携等に資する活動を実施した。これらの成果により、2020 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。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などが認められるため、評価を A とする。なお、平成 30 年度において予算額と決算額の差異が約 17.7 億円発生しているが、これは一部の支援課題において、外的な要因により高額な研究費の繰り越しがあったため、予算額と決算額に差が生じている。 【感染症対策並びに診断薬、治療薬及びワクチン開発等の一体的な推進】 ・平成 28 年度中に企業導出を達成した経鼻インフルエンザワクチンについては、第 II 相企業治験完了後、第 III 相企業治験を実施し、世界初の経鼻インフルエンザワクチンの効果を裏付ける多量体 IgA 抗体の存在と効果を発見した。 ・インフルエンザウイルス全粒子不活化ワクチン開発において、第 I / II 相臨床試験として企業治験を開始し、研究計画が大幅に進捗した。 ・ノロウイルスワクチンについては第 1 世代ノロウイルスワクチンシーズの企業導出の完了、新たな次世代ノロウイルスワクチンシーズ開発を開始した。 ・中南米を中心に感染拡大が発	
--	--	---	--	--	---	--

			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。 ➤ マウスノロウイルスの感染受容体が細胞表面上に存在する CD300lf、CD300ld であることを明らかにした。この結果によりマウスノロウイルスの感染の仕組みが解明されたとともに、ノロウイルスワクチン、ノロウイルス治療薬、ノロウイルス消毒薬開発への応用が期待された。 ➤ ヒトロタウイルスのリバースジェネティクスによる人工合成に世界で初めて成功した。 ➤ 治療法の無い重症熱性血小板減少症候群（SFTS）の治療法開発に向けて、調整費を活用して SFTS に対する抗ウイルス薬の実用化を推進するための医師主導型臨床研究を行った。 ➤ エボラ出血熱ウイルス治療用抗体を開発し、PCT 出願を行った。 ➤ エボラウイルスワクチンについては、GLP 準拠エボラウイルス候補ワクチンの製造を完了し、非臨床試験を開始した。ヒトでの臨床研究についても実施準備を行った。 ➤ 流行性耳下腺炎の原因ウイルスであるムンプスウイルスの細胞表面受容体への結合構造を解明し、ワクチンや抗ウイルス薬の開発・改良に関する重要な情報を得た。 ➤ ダニ媒介性ウイルス性脳炎ウイルスの新たな発症メカニズムに関する研究について、ダニ媒介性脳炎ウイルスの遺伝子 RNA が神経細胞の樹状突起内を新規のメカニズムで移動し、中枢神経症状の発症に影響していることを解明した。 ➤ HTLV-1 等感染症の診断薬、治療薬及びワクチン開発については、新規 HTLV-1 治療用ヒト免疫グロブリンの開発等に関する研究開発課題について追加配賦を行い、研究の加速を図った。その結果、抗 HTLV-1 ヒト免疫グロブリンのウイルス感染リスクを、当初計画していた定量 PCR 法に加え、電子顕微鏡を用いた超微形態学的なアプローチも新たに導入し、ウイルス感染リスクが確認されないことを明らかにできた。また ATL 患者並びに HAM/TSP 患者末梢血リンパ球から HTLV-1 感染 T 細胞株を複数樹立出来たことに加え、これらを比較検討した結果、IL-10 受容体下流のシグナル	生したジカ熱に対するワクチン開発、迅速診断法等の開発を加速するための支援を行った。 ・ SFTS に対する抗ウイルス薬の実用化を推進するための医師主導型臨床研究を行った。 ・ 世界的に問題となった薬剤耐性菌について、平成 28 年 4 月に策定された AMR 対策アクションプランに基づき病原ゲノムデータベース (GenEpid-J) を拡充して薬剤耐性菌・結核菌などの病原体ゲノム情報を収集し利用する体制基盤を充実させるとともに、プラスミド・ネットワーク解析ツール iPAT に 3 次元イメージ化を追加・改良し、公開バージョンの準備を行い、国際的な感染症対策の強化に貢献した。 ・ 多剤耐性結核菌に有効な新規抗結核薬候補物質を複数発見した。そのうち最適化合物については構造解析を終了し、特許を出願した。 ・ 結核 DNA ワクチンについては医師主導治験の実施のための PMDA 対面助言および治験届けを提出した。 ・ HIV-1 感染最初期におけるウイルスタンパク質と内因性免疫のせめぎあいの分子メカニズムを解明した。 ・ 麻疹ウイルスがヒトに感染する際に必須のウイルス膜融合蛋白質の構造を世界で初めて解明し、さらに、ウイルス膜融合蛋白質と阻害剤が結合した状態を原子レベルの分解能で可視化することに成功した。 ・ 高い抗デング活性を示す安定な候補物質を数種類見出した。	
--	--	--	--	---	--

			に違いがあり、細胞の増殖性に大きく影響することを明らかにできた。 ➤ ポリオ・麻疹等感染症の根絶・排除を継続する取組に資する研究に追加配賦を行い、研究の加速を図った。その結果、ポリオ直接検出法(ECRA 法)の改良が成功し、従来よりも 5～10 倍程度回収効率を上げることに成功した。また、麻しんリアルタイム PCR 法を確立し、平成 28 年 3 月までに地方衛生研究所を対象に本法の精度管理を実施することができた。 ➤ 世界的な問題となっている薬剤耐性菌について、平成 28 年 4 月に策定された薬剤耐性 (AMR) 対策アクションプランに基づいた研究開発を推進するために、コリスチン耐性因子 <i>mcr-1</i> を産生するコリスチン耐性株を簡便、迅速に検出する試験法の構築のため、化合物ライブラリーから、MCR-1 を阻害する物質を複数見出し、効果について検討を行った。また、深海微生物由来物質のスクリーニングからメチシリン耐性黄色ブドウ球菌及びバンコマイシン耐性腸球菌に対して抗菌活性のある新規物質を発見し、構造解析をすすめた。メチシリン耐性黄色ブドウ球菌および多剤耐性緑膿菌に感染した皮膚潰瘍を対象とする光線力学療法について、ヒトを対象とした臨床研究で有効性を見出した。また、医師主導治験に向けた GLP 試験実施のための準備を実施した。超多剤耐性グラム陰性菌に対する新規抗菌化合物を天然物由来ライブラリーから選定し、<i>in vitro</i> の系において高い有効性を示す化合物を見出した。病原体ゲノムデータベース (GenEpid-J) では、薬剤耐性の発生・伝播機序等の解明に向けて、薬剤耐性腸内細菌科細菌を中心に、細菌及びプラスミドのゲノムデータを収集し、データベースの拡充を図った。また、プラスミド・ネットワーク解析ツール iPAT に 3 次元イメージ化を追加・改良し、公開バージョンの準備を行った。さらに、ベトナム、カンボジア、タイ等においてカルバペネム耐性腸内細菌科細菌 (CRE) 臨床分離株を収集し、全ゲノムまたはプラスミドゲノムの塩基配列を取得し、これらの株の一部については国内の分離株との比較解析を実施した。AMR 等の喫緊の課題について抗菌剤創薬の観点から広く意見交換を行う場を AMED、関係学会 (日本感染症	・セアカゴケグモ抗毒の安全性を確保するための非臨床試験を行った。 これらの成果により、感染症対策並びに診断薬、治療薬及びワクチン開発等を一体的に推進したことは高く評価できる。 ＜今後の課題＞ ・引き続き、感染症対策の強化に向けた診断薬、治療薬及びワクチン等開発の推進を行う。具体的には、現在非臨床で開発が進んでいる新規抗結核薬等のシーズについて創薬支援部と連携し、実用化に向けた臨床試験への橋渡しを加速していく。 【感染症に関する国内外での研究推進】 ・国内の研究機関・企業が連携し開発したジカウイルス迅速診断法について、ブラジル研究機関とも連携し、ブラジルにおける臨床性能試験の完了後、LAMP 法を用いた迅速診断キットの製造販売承認を平成 30 年 6 月に取得した。 ・国際事業部との連携で米国より専門家を招聘して研究者対象のセミナー「蚊媒介感染症と遺伝子編集技術」を開催した。薬剤耐性 (AMR) シンポジウム～AMED における基礎から創薬までの研究開発最前線～を開催した。 ・国際連携イニシアティブ (GloPID-R) の活動を通して、世界の感染症アウトブレイク	
--	--	--	---	--	--

			学会及び日本化学療法学会）及び関連する製薬企業（製薬協）の専門家等で構成するとともに、AMR 関連課題について実用化に向けた意見交換会を実施した。 ➤ 薬剤耐性(AMR)対策アクションプランに資する取組みの一環として、超多剤耐性グラム陰性菌に対する新規抗菌化合物を企業の有する天然物由来ライブラリーから 7 種類の候補化合物を選定した。また、工業製品化に向けたポリマー型抗菌剤の開発を推進した。また、新たな機序の抗菌薬開発の取組みとして、細菌の多剤排出ポンプを標的とした阻害剤の探索を行った。特に多剤耐性緑膿菌に対する阻害剤のスクリーニングを行った。 ➤ 腸内細菌科の病原細菌であるサルモネラが、自身の細胞内レギュレーターRamRタンパク質により胆汁酸を認識し、その結果、胆汁排出の機能を有する排出タンパク質の発現を誘導する胆汁排出機構を解明した。胆汁が存在する腸内での細菌の環境適応機構を明らかにした。 ➤ 院内感染対策サーベイランス (JANIS) システムについて、WHO サーベイランス (GLASS) に準拠した検体別集計プログラムを開発し、外来検体の集計・公開を開始した。また、インドネシア、ベトナム、モンゴルの厚生省とも連携し、試験的に WHONET から JANIS の形式への変換を行う等により、JANIS システムの改修を行った。 ➤ 日本を含むアジア地域で問題となっている、治療困難な多剤耐性結核菌を中心とした結核菌について、国内、中国、韓国、ベトナム、モンゴル、台湾、フィリピン等から分離株及びゲノムデータの収集を行い、結核菌ゲノムデータベース (GReAT) を構築し、継続して拡充を図った。これにより、質・規模ともに世界的に類をみない優位性の高いデータベースへと成長した。更に、国内外の多剤耐性結核を含む結核菌について登録株の約 4 分の 1 (約 900 株) についてデータ公開を行った。また一昨年度までに開発を行った結核菌ゲノム情報解析ツール Total Genotyping Solution for TB (TGS-TB) について、GReAT の収載データ数の増加に伴い、そのデータを活用し、薬剤耐性予測機能の高精度化を進めた。 ➤ 結核 DNA ワクチンについて、安全性に係る非臨床	等への対応に関する情報収集、日本からの情報発信を積極的に行ったことは評価できる。特に、2019 年 GloPID-R 総会をホスト、データシェアリングに関するサイドイベントを企画開催して、主体的な役割を果たしてプレゼンスを高めた。 ・ AMR 研究の国際連携コンソーシアム (JPIAMR) が進めている、AMR 研究のバーチャルな国際連携のプラットフォーム (VRI) に参加を表明した。JPIAMR が開催したワークショップに日本の研究者を派遣した。また、JPIAMR 事務局がまとめている各国の AMR 研究支援課題マッピングとその公開に向けて協力した。 ・ 結核菌ゲノムデータベース (GReAT) の拡充を図り、国内外の多剤耐性結核を含む結核菌について登録株のデータ公開を行った。結核菌ゲノム情報解析ツール (TGS-TB) の薬剤耐性予測機能の高精度化を行った。 これらの成果は高く評価できる。 ＜今後の課題＞ ・ 引き続き国際的に問題となる感染症について、関係各国の研究機関とも連携して対策を進めていく。また感染症に対する国際連携ネットワーク (JPIAMR) や国際連携イニシアティブ (GloPID-R) とも引き続き連携し情報共有を行う。	
--	--	--	--	---	--

			試験が完了し、国立病院機構を中心とした医師主導治験実施の準備のため、PMDA との対面助言を実施し、治験届けを提出した。 ➤ 非結核性抗酸菌症（NTM 症）の研究を推進し、国内における NTM 症の罹患率が 7 年前と比較して 2.6 倍と急激な勢いで上昇し、公衆衛生上重要な感染症となっていることを明らかにした。 ➤ 肺 MAC 症（MAC: 複数のマイコバクテリウム属細菌種から構成される系統群の総称）について、集団規模での菌ゲノム比較解析により、肺 MAC 症原因菌が進化する仕組みを解明した。 ➤ 実践的理論疫学研究については、疫学観察データを数理モデルへ適合させ、マダガスカル肺ペスト流行の国際的流行リスクが極めて限定的であることを証明し、リアルタイムで社会へ還元を行った。 ➤ パンデミック真菌カンジダ・アウリスを 1 時間以内に検出・診断できる遺伝子診断法を開発し、米国疾病管理センター（CDC）協力の下に実証試験を計画した。 ➤ トキソプラズマ症におけるヒト免疫反応に関する研究について、トキソプラズマ症の免疫反応に関する重要な因子 Gate-16 を同定し、また、トキソプラズマ病原性因子 GRA15 が、ヒトでは宿主細胞に作用して一酸化窒素の産生を誘導し、免疫応答を抑制するという新規の病原性機構を発見した。 ➤ 研究ツールとして高頻度突然変異率を持つマラリアミューターを開発し、原虫ゲノムの多様な変異の蓄積と配偶子分化誘導因子の高頻度な変異挿入を発見した。これにより剤耐性マラリア対策に向けた迅速な研究が可能となった。 ➤ 日本で生息域が拡大しているセアカコケグモによる咬傷患者治療に必須な抗毒素を国内で製造・供給を可能にするため、国産のセアカコケグモ抗毒素製造プロジェクトを推進する研究開発課題に対して追加配賦を行い、研究の加速を図った。その結果、平成 28 年 1 月より抗毒素の安全性を確保するための非臨床試験を開始することができた。 ・「感染症研究国際展開戦略プログラム」（以下「J-GRID」という。）でも感染症対策並びに診断薬、治療薬及びワクチン開発等の一体的な推進に向けた支援			
--	--	--	--	--	--	--

			を行った。主な取組み及び成果は以下のとおり。 ➤ 東京大学のエンベロープウイルス感染制御のための基礎研究を加速化するため、当課主導により感染研との連携強化を進めた。その結果、中東呼吸器症候群 (MERS) の原因ウイルス(MERS コロナウイルス)創薬導出に向けての感染の最初の過程であるウイルス外膜と細胞膜との融合を簡便かつ定量的に評価できるハイスループット測定系を開発し、MERS コロナウイルスの感染を効果的に阻害する薬剤を同定した。この成果について、東京大学と AMED による共同プレスリリースを行った。 ➤ 神戸大学インドネシア拠点において、H5N1 ウイルスに極めて濃厚に暴露している生鳥市場従業員の血清を調べ、インフルエンザ発症歴の無い従業員 101 人のうち 84%に抗 H5N1 ウイルス抗体を検出した。多数の H5N1 ウイルスヒト不顕性感染例を示した世界初のデータであり、H5N1 ウイルスのヒトへの感染と病原性を再検証する必要性を示した。この成果について、神戸大学と AMED による共同プレスリリースを行った。また、生鳥市場で鳥とヒト、両ウイルスの混合感染が起こり得ることが示唆されたことから追加予算の交付行い、更なるコホート調査の支援強化を行った。 ➤ 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。 ➤ デング熱制御研究について、デングウイルス粒子の構造と抗デングウイルス抗体の結合によるウイルス感染性の変化を調べる新しい研究基盤が開発できた。このシステムの活用で、デングウイルス E タンパク質二量体と抗体による複合体の平衡構造の解析をすすめ、抗体依存性感染増強 (ADE) の分子機構の解析を加速させた。 ➤ 抗デングウイルス薬について、全ての血清型のデングウイルスへのウイルス増殖阻害効果を示す候補化合物の合成展開を実施した。また、追加で drug repositioning ライブラリーから複数のヒット化合物が得られた。 ➤ デング熱対策に資する研究において、北里大学天然化合物ライブラリーより確認された抗ウイルス活性を示す候補化合物において、引き続き高い抗			
--	--	--	---	--	--	--

			デング活性を示す安定な候補物質を数種類見出し、分子構造の解析を実施した。 ➤ 多剤耐性菌に有効な新規抗菌薬シーズ探索において、大学と創薬支援戦略部が連携し、企業導出の可能性を検討すると共に、知財部と本件の知財化の可能性を見出し支援した。 ➤ 迅速・正確な感染症診断を可能にする病原微生物同定システムの開発において、ポータブル型のDNA シーケンサー「MinION」(Oxford Nanopore Technology 社製) に応用可能なゲノム解析システムを開発し、16S rRNA 遺伝子を PCR 増幅して配列決定することにより、細菌感染症試料に対する細菌の同定を 2 時間以内で行うことが可能であることを示唆した。 ➤ 多剤耐性結核等の新規治療薬の開発において、北里大学の天然化合物ライブラリーを用いた天然抽出物のスクリーニングを進め、多剤耐性結核菌に有効な新規抗結核薬候補物質を複数発見した。そのうち最適化合物については構造解析を終了し、特許出願済み。 ➤ 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活用してイソニアジド耐性菌検出法の基盤技術を確立した。本法により、イソニアジド耐性菌が迅速に検出できるようになった。また、リファンピシン耐性結核菌検出用テイラーメイド診断キットの開発に着手した。 ・「感染症研究革新イニシアティブ」(以下「J-PRIDE」という。)の公募型研究では、異分野連携と若手の斬新な発想に基づく挑戦的な課題を採択、感染症対策並びに診断薬、治療薬及びワクチン開発等の一体的な推進に向けた支援を行った。主な取組み及び成果は以下のとおり。 ➤ 構造生物学的手法による麻疹ウイルス中枢神経持続感染の治療薬創出を目指した研究において、麻疹ウイルスがヒトに感染する際に必須のウイルス膜融合蛋白質の構造を世界で初めて解明し、さらに、ウイルス膜融合蛋白質と阻害剤が結合した状態を原子レベルの分解能で可視化することに成功した。 ➤ HIV 感染症の新規治療コンセプトの確立を目指したシステムウイルス学研究において、ヒト免疫シ			
--	--	--	--	--	--	--

			システムを再構築し、HIV-1 に感受性をもつ小動物モデル「ヒト化マウス」を用い、HIV-1 感染最初期におけるウイルスタンパク質と内因性免疫のせめぎあいの分子メカニズムを解明した。 ➤ 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。 ➤ ペア型レセプターを標的にした新たな感染症制御法の開発において、ヒトに感染する熱帯熱マラリア原虫が免疫応答を抑えて重症化を引き起こす分子メカニズムを発見、マラリアに対するワクチン開発や治療薬の開発に大きく貢献すると期待されている。 ➤ マラリア治療薬、マラリアの治療方法、マラリア治療用候補物質のスクリーニング方法、マラリア重症化マーカー、マラリアの重症化の危険度を試験する方法および試験試薬に係る特許を出願した。 ■感染症に関する国内外での研究推進 ・新興・再興感染症事業では、感染症に関する国内外での研究について支援を行った。主な取組み及び成果は以下のとおり。 ➤ ジカウイルス感染症に関する研究課題のブラジルとの協力開始にあたり、日本側研究機関とブラジル側研究機関との協力覚書締結（平成28年10月）に向けた助言や人的橋渡し等の側面支援を行って研究を推進した。 ➤ 中南米を中心に世界的に流行したジカ熱に対する対策を強化するために、国立感染症研究所・大学等研究機関・企業の連携に加え、ブラジル研究機関との連携を推進し、ジカウイルス感染症に対する国際連携ワークショップを2回開催した。また、ブラジル研究機関主催の現地巡回による臨床検体収集のためのキャラバンへ研究者を派遣し、ジカウイルス感染症由来の胎盤や血液等サンプルを得て、共同研究を実施した。調整費を活用しジカウイルスワクチン開発、ジカウイルス迅速診断法開発等を支援した。その結果、ジカウイルスワクチンについては、選定したワクチンシーズについて、治験薬の製造、非臨床試験を完了し、企業治験にむけた準備を実施した（2019年2月にPMDA 対面			
--	--	--	--	--	--	--

			助言実施)。また、ジカワクチンターゲットプロダクトプロファイル (TPP) 作成を目的とした産官学連携によるワーキンググループを立ち上げ、TPP 検討会を実施するなど、ワクチン開発に向けた取り組みが進展した。ジカウイルス迅速診断法については、LAMP 法を用いた迅速診断法開発を推進し、ジカウイルス迅速診断キットの製造販売承認を平成 30 年 6 月に取得した。(再掲) ➤ 平成 28 年 10 月、国際事業部との連携で米国より専門家を招聘して研究者対象のセミナー「蚊媒介感染症と遺伝子編集技術」を国立感染症研究所において開催、感染環制御に関する最先端の研究について研究者間の交流、我が国の若手研究者の育成に努めた。 ➤ 院内感染対策サーベイランス (JANIS) システムについて、WHO サーベイランス (GLASS) に準拠した検体別集計プログラムを開発し、外来検体の集計・公開を開始した。また、インドネシア、ベトナム、モンゴルの厚生省とも連携し、試験的に WHONET から JANIS の形式への変換を行う等により、JANIS システムの改修を行った。(再掲) ➤ 感染症アウトブレイクに対する研究支援協力を目的とした国際連携イニシアティブである GloPID-R (Global Research Collaboration for Infectious Disease Preparedness) の活動として、AMED の研究支援関連情報を GloPID-R Newsletter に提供、世界に発信した。また、次回年次総会 (2019 年 5 月開催) をホストするための準備を進めた。 ➤ 薬剤耐性 (AMR) 研究の国際連携コンソーシアムである JPIAMR (Joint Programming Initiative on Antimicrobial Resistance) が進めている、AMR 研究のバーチャルな国際連携のプラットフォーム、Virtual Research Institute (VRI) の設立に向けての議論に参加した。平成 30 年 12 月に JPIAMR がオランダで開催したワークショップに日本の研究者を派遣した。また、JPIAMR 事務局がまとめている各国の AMR 研究支援課題マッピング作業に協力した。 ➤ 平成 29 年 9 月 28 日 (木)、感染症研究課が中心となり関連部門との連携で、薬剤耐性 (AMR) シンポジウム ～AMED における基礎から創薬			
--	--	--	--	--	--	--

				までの研究開発最前線～を開催、AMR に関する産学官の議論を促した。			
	また、国内外の病原体に関する全ゲノムデータベースを構築することで、病原体情報をリアルタイムに共有し、感染症の国際的なリスクアセスメントを可能とする。また、集積された情報を分析することで、重点的なサーベイランスを実施するなど、感染症流行時の迅速な対応の促進を図る。	また、特に重要となっている感染症（インフルエンザ、デング熱、薬剤耐性菌、下痢感染症等）を対象に、海外と国内の流行株のゲノム変異、病原性、薬剤耐性等の変化をリアルタイムに把握し、国内侵入時の迅速対応を可能にするとともに、進化的解析による流行予測の可能性を検討する研究を支援する。	＜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。 ・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。 ＜モニタリング指標＞ ・左記の評価軸に係る取組状況等	■病原体ゲノムデータベースの構築及び集積された情報を利用した感染症流行時の迅速対応 ・新興・再興感染症事業と J-GRID では、病原体ゲノムデータベースの構築及び集積された情報を利用した感染症流行時の迅速対応について支援を行った。主な取組み及び成果は以下のとおり。 ➤ 病原体ゲノムデータベースの構築及び集積された情報を利用した感染症流行時の迅速対応について支援を行った。 ➤ 4大重点疾患（インフルエンザ、デング熱、薬剤耐性菌、下痢症感染症）それぞれを対象とした支援を行うことで、国立感染症研究所の研究者及び「感染症研究国際展開戦略プログラム」（北海道大学・長崎大学・岡山大学・大阪大学）の研究者が研究開発代表者となって各病原体サンプル収集・解析・ゲノムデータ共有の拡充をさらに進めた。また、4大重点疾患のうち、薬剤耐性菌については、カルバペネム耐性腸内細菌科細菌ゲノム情報について、大阪大学が国立国際医療センター研究所、国立感染症研究所と連携し、論文の発表時に順次公開を進めた。 ➤ 病原体ゲノムデータベース（GenEpid-J）では、薬剤耐性の発生・伝播機序等の解明に向けて、薬剤耐性腸内細菌科細菌を中心に、細菌及びプラスミドのゲノムデータを収集し、データベースの拡充を図った。また、プラスミド・ネットワーク解析ツール iPAT に3次元イメージ化を追加・改良し、公開バージョンの準備を行った。さらに、ベトナム、カンボジア、タイ等においてカルバペネム耐性腸内細菌科細菌（CRE）臨床分離株を収集し、全ゲノムまたはプラスミドゲノムの塩基配列を取得し、これらの株の一部については国内の分離株との比較解析を実施した。（再掲） ➤ 院内感染対策サーベイランス（JANIS）システムについて、WHO サーベイランス（GLASS）に準拠した検体別集計プログラムを開発し、外来検体の集計・公開を開始した。また、インドネシア、ベトナム、モンゴルの厚生省とも連携し、試験的に WHONET から JANIS の形式への変換を行う等により、JANIS システムの改修を行った。（再掲）	【病原体ゲノムデータベースの構築及び集積された情報を利用した感染症流行時の迅速対応】 ・薬剤耐性菌について、カルバペネム耐性腸内細菌科細菌ゲノム情報を、大阪大学が国立国際医療センター研究所、国立感染症研究所と連携し、論文の発表時に順次公開を進めた。 ・病原体ゲノムデータベース（GenEpid-J）への薬剤耐性菌ゲノムデータの拡充を図り、薬剤耐性菌の解析を推進した。WHO サーベイランス（GLASS）に準拠した院内感染対策サーベイランスシステム（JANIS）の検体別集計プログラムを開発するとともに、アジア地域の厚生省と連携を強化するなど本システムの海外展開を推進した。 ・アジア地域を中心とした国内外の多剤耐性結核の菌株、核酸、ゲノム情報を収集し、国際的な結核データベース（GReAT）の拡充を行うとともに、構築した多剤耐性結核解析ツール（TGS-TB）について GReAT の収載データ数の増加に伴い、そのデータを活用し、薬剤耐性予測機能の高精度化を進めた。更に、国内外の多剤耐性結核を含む結核菌についてデータベース登録株の約4分の1（約900株）についてデータ公開を行った。 ・デング熱制御研究について、抗体依存性感染増強（ADE）の分子機構の解析を加速させた。 これらの成果により、病原体ゲノムデータベースの構築及び集		

			➤ 日本を含むアジア地域で問題となっている、治療困難な多剤耐性結核菌を中心とした結核菌について、国内、中国、韓国、ベトナム、モンゴル、台湾、フィリピン等から分離株及びゲノムデータの収集を行い、結核菌ゲノムデータベース（GReAT）の拡充を図った。これにより、質・規模ともに世界的に類をみない優位性の高いデータベースへと成長した。更に、国内外の多剤耐性結核を含む結核菌について登録株の約 4 分の 1（約 900 株）についてデータ公開を行った。また一昨年度までに開発を行った結核菌ゲノム情報解析ツール Total Genotyping Solution for TB (TGS-TB)について、GReAT の収載データ数の増加に伴い、そのデータを活用し、薬剤耐性予測機能の高精度化を進めた。（再掲） ➤ デング熱制御研究について、デングウイルス粒子の構造と抗デングウイルス抗体の結合によるウイルス感染性の変化を調べるシステムの活用し、デングウイルス E タンパク質二量体と抗体による複合体の平衡構造の解析を更にすすめ、抗体依存性感染増強（ADE）の分子機構の解析を引き続き加速させた。（再掲）	積された情報を利用した感染症流行時の迅速対応を推進したことは高く評価できる。 ＜今後の課題＞ ・さらなる病原体データベースの拡充や整備を新興・再興感染症事業と J-GRID との連携の元に行い、日本だけではなく、日本と関連の深いアジア地域の病原体情報も包括するデータベースの構築を引き続き推進する。またデータベースの病原体情報を利用した抗菌薬開発等、蓄積した病原体情報の効果的な活用方法を引き続き検討する。		
さらに、予防接種に関する基本的な計画、特定感染症予防指針、ストップ結核ジャパンアクションプラン及び「薬剤耐性（AMR）対策アクションプラン」（平成28年4月5日関係閣僚会議決定）等を踏まえ、病原体の薬剤ターゲット部位を同定すること等を通じ、新たな診断薬・治療薬・ワクチンのシーズ	また、病原体の感染から増殖にいたる過程を解析して治療薬の標的を定め、薬剤開発のシーズを抽出する。さらに、病原体の血清型と繰り返し感染・病態の重篤化等に関する情報、ゲノム情報を応用した計算科学による病原体タンパク質の構造情報等をもとに適切な抗原を設定し、	＜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	■予防接種に関する基本的な計画、特定感染症予防指針、ストップ結核ジャパンアクションプラン及び「薬剤耐性（AMR）対策アクションプラン」（平成28年4月5日関係閣僚会議決定）等を踏まえた新たな診断薬・治療薬・ワクチンのシーズの開発 ・新興・再興感染症事業では、予防接種に関する基本的な計画、特定感染症予防指針、ストップ結核ジャパンアクションプラン及び「薬剤耐性（AMR）対策アクションプラン」（平成28年4月5日関係閣僚会議決定）等を踏まえた新たな診断薬・治療薬・ワクチンのシーズの開発について支援を行った。主な取組み及び成果は以下のとおり。 ➤ インフルエンザの感染防御に有効で、現在使用されている注射型ワクチンと比べ多様な流行株にも効果を有するとされる新規経鼻インフルエンザワクチンの開発に関する研究開発課題に対して、実用化に向けた成果創出への取組に沿った研究支援を行い、その成果創出の加速を図った。その結果、国内初の不活化経鼻インフルエンザワクチン実用化に向け第Ⅰ相臨床試験（企業治験）が平成27年	【予防接種に関する基本的な計画、特定感染症予防指針、ストップ結核ジャパンアクションプラン及び「薬剤耐性（AMR）対策アクションプラン」（平成28年4月5日関係閣僚会議決定）等を踏まえた新たな診断薬・治療薬・ワクチンのシーズの開発】 ・平成28年度中に企業導出を達成した経鼻インフルエンザワクチンについては、第Ⅱ相企業治験完了後、第Ⅲ相企業治験を実施し、世界初の経鼻インフルエンザワクチンの効果を裏付ける多量体 IgA 抗体の存在と効果を発見した。 ・インフルエンザウイルス全粒子不活化ワクチン開発において、第Ⅰ/Ⅱ相臨床試験として企業治験を開始し、研究計画が		

	の開発を実施する。これにより、国内のみならず、感染症が発生している海外の現地における予防・診断・治療等への貢献が可能となる。	ワクチン開発戦略等を構築する。	療薬・ワクチンのシーズの開発を実施したか。 ＜モニタリング指標＞ ・左記の評価軸に係る取組状況等	10月より開始されるとともに、平成29年度第II相試験が完了し、現在第III相試験を実施中。さらなる成果として、多量体IgA抗体の存在と効果を世界で初めて発見し、経鼻インフルエンザワクチンの効果を裏付ける結果を確認した。また、四量体型SIgA抗体を作製する技術を新規開発し、単量体や二量体、四量体のIgA抗体を人工的に作製することに成功した。本技術を用いることで、SIgA抗体は四量体化すると単量体では不活化できないウイルスも不活化できることが明らかとし、その効果について検証を行った。（再掲） ➤ ノロウイルスワクチンについては、第1世代ノロウイルスワクチンシーズに関する企業とライセンス契約締結（企業導出）が完了し、新たな次世代ノロウイルスワクチンシーズの開発も開始した（再掲）。 ➤ マウスノロウイルスの感染受容体が細胞表面上に存在するCD300lf、CD300ldであることを明らかにした。この結果によりマウスノロウイルスの感染の仕組みが解明されたとともに、ノロウイルスワクチン、ノロウイルス治療薬、ノロウイルス消毒薬開発への応用が期待された（再掲）。 ➤ 中南米を中心に世界的に流行したジカ熱に対する対策を強化するために、国立感染症研究所・大学等研究機関・企業の連携に加え、ブラジル研究機関との連携を推進し、調整費を活用しジカウイルスワクチン開発、ジカウイルス迅速診断法開発等を支援した。その結果、ジカウイルスワクチンについては、選定したワクチンシーズについて、治験薬の製造、非臨床試験を完了し、企業治験にむけた準備を実施した（2019年2月にPMDA対面助言実施）。また、ジカワクチンターゲットプロダクトプロファイル（TPP）作成を目的とした産官学連携によるワーキンググループを立ち上げ、TPP検討会を実施するなど、ワクチン開発に向けた取組みが進展した。ジカウイルス迅速診断法については、LAMP法を用いた迅速診断法開発を推進し、ジカウイルス迅速診断キットの製造販売承認を平成30年6月に取得した。（再掲） ➤ ジカウイルスについて、数理モデルを用いて感染症流行動態を予測し、その感染力がデング熱と同等であることを世界で初めて明らかにした。	大幅に進捗した。 ・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の企業導出の完了、新たな次世代ノロウイルスワクチンシーズ開発を開始した。 ・中南米を中心に世界的に流行したジカ熱に対し、ジカウイルスワクチン・ジカウイルス迅速診断法開発を進め、ワクチンについては治験薬の製造、非臨床試験を完了し、企業治験にむけた準備を実施、迅速診断法開発についてはブラジル研究機関とも連携し、ブラジルにおける臨床性能試験の完了後、LAMP法用いた迅速診断キットの製造販売承認を平成30年6月に取得し、対策を強化した。 ・デングウイルス増殖阻害剤の開発研究に関して、候補化合物の一つがデングウイルス2型のVero細胞における増殖を阻害することを明らかとした。 ・治療法の無い重症熱性血小板減少症候群（SFTS）の治療法開発に向けて、SFTSに対する抗ウイルス薬の実用化を推進するための医師主導型臨床研究を行った。 ・治療困難な多剤耐性結核に対して、結核DNAワクチンの医師主導治験の実施のためのPMDA対面助言および治験届けを提出した。 ・問題となっている種々耐性菌に対する新規抗菌剤の開発を推進した。 これらの成果により、予防接種に関する基本的な計画、特定感染症予防指針、ストップ結核ジ		
--	--	-----------------	--	---	--	--	--

			➤ 抗結核菌物質探索において、北里大・微生物資源ライブラリーを活用したスクリーニングの支援を、創薬支援戦略部と連携して行うことで多剤耐性結核の新規治療薬開発を促進した。同様に、抗 Deng 熱薬剤開発でも天然抽出物を中心としたスクリーニング支援を行い、創薬推進に向けた取組を行った。 ➤ エボラウイルスワクチンについては、GLP 準拠エボラウイルス候補ワクチンの製造を完了し、非臨床試験を開始した。ヒトでの臨床研究についても実施準備を行った。(再掲) ➤ 治療法の無い重症熱性血小板減少症候群 (SFTS) の治療法開発に向けて、調整費を活用して SFTS に対する抗ウイルス薬の実用化を推進するための医師主導型臨床研究を行った。(再掲) ➤ 結核 DNA ワクチンについて、安全性に係る非臨床試験が完了し、国立病院機構を中心とした医師主導治験実施の準備のため、PMDA との対面助言を実施し、治験届けを提出した。(再掲) ➤ 世界的な問題となっている薬剤耐性菌について、平成 28 年 4 月に策定された薬剤耐性 (AMR) 対策アクションプランに基づいた研究開発を推進するために、コリスチン耐性因子 <i>mcr-1</i> を産生するコリスチン耐性株を簡便、迅速に検出する試験法の構築のため、化合物ライブラリーから、MCR-1 を阻害する物質を複数見出し、効果について検討を行った。また、深海微生物由来物質のスクリーニングからメチシリン耐性黄色ブドウ球菌及びバンコマイシン耐性腸球菌に対して抗菌活性のある新規物質を発見し、構造解析をすすめた。メチシリン耐性黄色ブドウ球菌および多剤耐性緑膿菌に感染した皮膚潰瘍を対象とする光線力学療法について、ヒトを対象とした臨床研究で有効性を見出した。また、医師主導治験に向けた GLP 試験実施のための準備を実施した。超多剤耐性グラム陰性菌に対する新規抗菌化合物を天然物由来ライブラリーから選定し、<i>in vitro</i> の系において高い有効性を示す化合物を見出した。病原体ゲノムデータベース (GenEpid-J) では、薬剤耐性の発生・伝播機序等の解明に向けて、薬剤耐性腸内細菌科細菌を中心に、細菌及びプラスミドのゲノムデータを収集し、データベースの拡充を図った。また、ベトナム、 <td> ジャパンアクションプラン及び「薬剤耐性 (AMR) 対策アクションプラン」(平成 28 年 4 月 5 日関係閣僚会議決定) 等を踏まえた新たな診断薬・治療薬・ワクチンのシーズの開発を推進したことは高く評価できる。 <今後の課題> ・結核 DNA ワクチンの治験開始、インフルエンザウイルス全粒子不活化ワクチン開発等の研究が加速されるよう、引き続き知財部や創薬支援戦略部とも連携を図り支援を行う。 </td> <td></td> <td></td>	ジャパンアクションプラン及び「薬剤耐性 (AMR) 対策アクションプラン」(平成 28 年 4 月 5 日関係閣僚会議決定) 等を踏まえた新たな診断薬・治療薬・ワクチンのシーズの開発を推進したことは高く評価できる。 <今後の課題> ・結核 DNA ワクチンの治験開始、インフルエンザウイルス全粒子不活化ワクチン開発等の研究が加速されるよう、引き続き知財部や創薬支援戦略部とも連携を図り支援を行う。		
--	--	--	---	---	--	--

			カンボジア、タイ等において CRE 臨床分離株を収集し、全ゲノムまたはプラスミドゲノムの塩基配列を取得し、これらの株の一部については国内の分離株との比較解析を実施した。更に、プラスミド・ネットワーク解析ツール iPAT に 3 次元イメージ化を追加・改良し、公開バージョンの準備を行った。（再掲） ➤ AMR 等の喫緊の課題について抗菌剤創薬の観点から広く意見交換を行う場を AMED、関係学会（日本感染症学会及び日本化学療法学会）及び関連する製薬企業（製薬協）の専門家等で構成するとともに、AMR 関連課題について実用化に向けた意見交換会を実施した。 ・ J-GRID では、予防接種に関する基本的な計画、特定感染症予防指針、ストップ結核ジャパンアクションプラン及び「薬剤耐性（AMR）対策アクションプラン」（平成 28 年 4 月 5 日関係閣僚会議決定）等を踏まえた新たな診断薬・治療薬・ワクチンのシーズの開発について支援を行った。主な取組み及び成果は以下のとおり。 ➤ インフルエンザウイルス全粒子不活化ワクチン開発において、PMDA RS 戦略相談を経て治験届を提出し、第Ⅰ/Ⅱ相臨床試験として治験を開始した。（再掲） ➤ デング熱対策に資する研究において、北里大学天然化合物ライブラリーより確認された抗ウイルス活性を示す候補化合物において、引き続き高い抗デング活性を示す安定な候補物質を数種類見出し、分子構造の解析を実施した。（再掲） ➤ 海外から持ち込まれる蚊媒介性ウイルス感染症の対策に資する研究として、特に、デングウイルスに対する VLP ワクチン開発課題への追加配賦を行い研究の加速を図った。その結果、デングウイルス VLP 高生産系を確立したことに加え、マウスを用いたデングウイルス VLP の免疫原性試験を実施し、VLP 免疫により野生型ウイルスへの抗体応答が見られることを確認できた。 ➤ デングウイルスの増殖とそれに起因する疾患の病態を詳細に調べ、治療薬の標的を定めるための基盤情報を得る研究「デングウイルス増殖阻害剤開発研究」に対して平成 27 年度第 2 回調整費にての成果創出の加速化を推進した。その成果として、			
--	--	--	--	--	--	--

			得られた候補化合物の一つが実際にデングウイルス 2 型の Vero 細胞における増殖を阻害することが明らかになり、デングウイルス増殖阻害剤開発の 6 ヶ月の前倒しを達成することが出来た。 ➤ 北海道大学の多剤耐性結核等の新規治療薬の開発において、AMED 創薬支援戦略部と連携し、北里大学との共同研究体制の構築し研究費の増額を行った。その結果、北里大学の天然化合物ライブラリーより強い抗結核菌活性を示す 5 つの候補物質を確認した。 ➤ 多剤耐性結核等の新規治療薬の開発において、北里大学の天然化合物ライブラリーを用いた天然抽出物のスクリーニングを進め、多剤耐性結核菌に有効な新規抗結核薬候補物質を複数発見した。そのうち最適化合物については構造解析を終了し、特許出願済み。(再掲) ➤ 薬剤耐性結核の迅速診断キットの開発と実用化研究において、核酸クロマトグラフィーの技術を応用してイソニアジド耐性菌検出法の基盤技術を確立した。本法により、イソニアジド耐性菌が迅速に検出できるようになった。また、リファンピシン耐性結核菌検出用テイラーメイド診断キットの開発に着手した。(再掲)			
また、国内の臨床医や若手の感染症研究者の育成を推進するため、感染症研究国際展開戦略プログラム（J－GRID）の海外拠点と国立感染症研究所等で研修プログラムを実施する。	海外の感染症流行地で患者に直接接する機会を活用し詳細な臨床情報を収集・解析することを通じて、実践的な感染症研究者の育成を図るための研修プログラムを策定し実施する。	＜評価軸＞ ・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。 ＜モニタリング指標＞ ・左記の評価軸	■海外拠点と国立感染症研究所等における研修プログラム実施 ・J-GRID では、海外拠点と国立感染症研究所等における研修プログラム実施について支援を行った。主な取り組み及び成果は以下のとおり。 ➤ 「新興・再興感染症制御プロジェクト 新興再興事業・J-GRID 合同シンポジウム」（平成 28 年 3 月、平成 29 年 3 月、平成 30 年 3 月開催）を AMED が主催となって国立感染症研究所において開催し、4 大重点課題（薬剤耐性菌、インフルエンザ、デング熱、下痢症感染症）、寄生虫・原虫感染症、HTLV-1、結核・非結核性抗酸菌、人畜共通感染症の研究進捗情報等を集積する場を提供することで、研究者間の情報共有や連携を図り、今後のプロジェクト推進基盤の構築に努めた。 ➤ 感染症研究所において、アイルランガ大学（インドネシア）及び東京医科歯科大学ガーナ野口記念医学研究所より研究員を招聘し、10 月～11 月にかけて 3 週間の研修を実施し、J-GRID の成果目	【海外拠点と国立感染症研究所等における研修プログラム実施】 ・「新興・再興感染症制御プロジェクト 新興再興事業・J-GRID・J-PRIDE 合同シンポジウム」を開催したことで、共通課題毎での拠点間連携の強化を推進することが出来た。 ・国立感染症研究所において、アイルランガ大学及び東京医科歯科大学ガーナ野口記念医学研究所より研究員を招聘し、研修を実施し、J-GRID の成果目標である人材育成を推進した。 ・タイ拠点では、若手研究者がデング熱やチクングニア熱の診断法開発研究を通して、基本		

			に係る取組状況等 標である人材育成を推進した。 ➤ タイ拠点における研修プログラムでは、デング熱やチクングニア熱の診断法開発研究を通して、担当の若手研究者が単クローン抗体の作製技術に関して習熟し、またウイルス培養や感染力価の測定などウイルス研究に関わる基本技術を習得できた。J-GRID の成果目標である人材育成を推進した。 ➤ タイ拠点における研修プログラムでは、日本の感染症専門医8名が参加し、複数のクリニック、大学病院で病院実習を行った。また、医学部3年次学生の希望者2名を、約1ヶ月間、日本・タイ感染症共同研究センターあるいはマヒドン・大阪感染症研究センターに配属し、デング熱研究あるいは細菌およびウイルス性下痢症研究に参加させ、熱帯病研修を行った。 ➤ ザンビア拠点及び国内大学において、若手研究者を含む7名を節足動物媒介性病原体、細菌、及びウイルス性人獣共通感染症の研究に参加させた。また、博士研究員2名をザンビア拠点へ長期派遣し、ザンビアにおける人獣共通感染症を対象とした基礎・疫学研究に従事させた。 ➤ フィリピン拠点においては、国内の医学部3年生4名の研修受け入れ約2週間の研究を実施した。熱帯地域の感染症臨床や対策を学ぶとともに、地方病院や貧困地域の現状および感染症対策の重要性を認識することができた。 ➤ フィリピン拠点においては、国内の医学部6年生の研修を約2週間実施し、拠点内の病棟でインターンとして、熱帯地域の感染症臨床や対策を学ぶとともに、地方病院や貧困地域の現状および感染症対策の重要性を認識することができた。 ➤ インドネシア拠点においては、国内の医学部3年生2名の感染症研修を実施した。 ➤ ミャンマー拠点においては、国内の学部生3名への研修を実施し、病院の視察、実習、デング熱のサーベイランス等を行った。 ■若手の感染症研究者育成の推進 ・新興・再興感染症事業とJ-GRID では、若手の感染症研究者育成について支援を行った。主な取組み及び成果は以下のとおり。	技術を習得した。また、医学部学生を、日本・タイ感染症共同研究センターあるいはマヒドン・大阪感染症研究センターに配属し、熱帯病研修を行い、人材育成を推進した。 ・ザンビア拠点及び国内大学において、若手研究者を節足動物媒介性病原体、細菌、及びウイルス性人獣共通感染症の研究に参加させた。また、博士研究員をザンビア拠点へ長期派遣し、ザンビアにおける人獣共通感染症を対象とした基礎・疫学研究に従事させた。 ・フィリピン拠点において、医学部の研究を実施し、熱帯地域の感染症臨床や対策を学ぶとともに、地方病院や貧困地域の現状および感染症対策の重要性を認識することができた。 ・インドネシア拠点において、医学部の感染症研修を実施した。 ・ミャンマー拠点においては、学部生3名の研修を実施し、病院の視察、実習、デング熱のサーベイランス等を行った。 これら海外拠点と国立感染症研究所等における研修プログラムを実施したことは高く評価できる。 <今後の課題> ・引き続き海外拠点と国立感染症研究所等における研修プログラムを実施し、研究者間の情報共有や連携を図り、今後のプロジェクト推進基盤の構築を図る。	
--	--	--	--	--	--

			➤ 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。 ➤ 平成 28 年度は若手研究者 39 名の登用を支援し、国立研究機関等についてはリサーチ・レジデント制度を活用して 26 名を雇用した。平成 29 年度は若手研究者 7 名の登用を支援し、国立研究機関等についてはリサーチ・レジデント制度を活用して 11 名を雇用した。平成 30 年度は若手研究者 7 名の登用を支援し、国立研究機関等についてはリサーチ・レジデント制度を活用して 9 名を雇用した。 ➤ 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・再興感染症に対する革新的医薬品等開発推進研究事業において、平成 31 年度開始課題の公募を平成 30 年度中に実施し、若手研究者が応募しやすいよう若手育成枠を設定した。また、国際レビューア導入に伴い、応募のための提案書の一部を英語化した。その結果、多くの応募を得て、平成 31 年度より採択した研究者 3 名の研究課題を支援予定。平成 30 年度は若手育成枠にて 4 課題を支援。 ・J-PRIDE では、海外研究機関と連携し若手研究者育成に資するプログラムを実施した。取組み内容は以下のとおり。 ➤ 英国事務所との連携により、J-PRIDE 課題の若手研究者 8 名と MRC 支援を受ける英国研究機関（インペリアルカレッジロンドン、グラスゴー大学、オックスフォード大学）の研究者との間でワークショップを開催、両国研究者間の研究紹介や情報交換、議論を通し、共同研究の可能性を探った。具体的な共同研究の検討を進める課題については、さらなる議論を行うための英国再訪問に追加支援を行った。 ➤ 在京英国大使館及び MRC との協力により、J-PRIDE 若手研究者と英国研究者が参加する第 2 回日英ワークショップを東京で開催、新たな日英共同研究の開始や既存の共同研究発展の可能性を探る議論を行った。2019 年 1 月安倍首相訪英後の日英共同	【若手の感染症研究者育成の推進】 ・新興・再興感染症事業あるいは J-GRID において、育成した若手研究者（リサーチ・レジデントを含む）が大学及び研究機関等の職員として採用された。 ・J-PRIDE において、異なる研究分野の若手研究者による合宿や合同研究発表会開催により、異分野の連携を図り若手研究者のさらなる育成を推進した。 ・新興・再興感染症事業において、平成 31 年度開始課題の公募を平成 30 年度中に実施し、若手研究者が応募しやすいよう若手育成枠を設定した。また、国際レビューア導入に伴い、応募のための提案書の一部を英語化した。 ・J-PRIDE 課題の若手研究者と英国研究機関の研究者との間でワークショップを 2 回に渡り開催、共同研究の可能性を見出した。具体的な共同研究につながった課題に研究費追加配分を行い支援した。 これら若手感染症研究者育成の推進を行ったことは高く評価できる。 ＜今後の課題＞ ・引き続き若手研究者の支援を行い、感染症研究分野の底上げを推進する。		
--	--	--	---	--	--	--

				声明に、「2017 年に署名された MOC に基づく国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED）と英国医学研究会議（MRC）の間の協力並びに特に 2019 年に開始された感染症及び再生医療分野に関する協働を歓迎する。」との文言が盛り込まれた。			
	さらに、2014 年 5 月に採択された WHO の結核対策に関する新戦略を受け、2020 年までに我が国が低蔓延国入りできるよう、結核に関する研究を推進する。 また、2020 年の東京オリンピック・パラリンピックに向け、感染症サーベイランスの強化に関する研究を促進する。 「国際的に脅威となる感染症対策の強化に関する基本方針」（平成 27 年 9 月 11 日関係閣僚会議決定）及び「国際的に脅威となる感染症対策の強化に関する基本計画」（平成 28 年 2 月 9 日関係閣僚会議決定）等を踏まえて形成される高度安全実験施設を中核と	将来的に、我が国で結核についての低まん延化ができるよう、新規結核ワクチン等の研究のうち、有望な革新的技術については早期の実用化を目標に開発を推進する。 また、2020 年の東京オリンピック・パラリンピックに向け感染症の早期診断並びに発生動向の迅速かつ正確な把握に資する研究を推進する。 「国際的に脅威となる感染症対策の強化に関する基本方針」（平成 27 年 9 月 11 日関係閣僚会議決定）及び「国際的に脅威となる感染症対策の強化に関する基本計画」（平成 28 年 2	＜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。 ・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。 ・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。 ＜モニタリング指標＞ ・左記の評価軸に係る取組状	■WHO の結核対策を受けた 2020 年までの低蔓延国入りに向けた研究の推進 ・新興・再興感染症事業では、結核の低蔓延国入りに向けた研究の推進を行った。主な取組み及び成果は以下のとおり。 ➤ 日本を含むアジア地域で問題となっている、治療困難な多剤耐性結核菌を中心とした結核菌について、国内、中国、韓国、ベトナム、モンゴル、台湾、フィリピン等から分離株及びゲノムデータの収集を行い、結核菌ゲノムデータベース（GReAT）の拡充を図った。これにより、質・規模ともに世界的に類をみない優位性の高いデータベースへと成長した。更に、国内外の多剤耐性結核を含む結核菌について登録株の約 4 分の 1（約 900 株）についてデータ公開を行った。また一昨年度までに開発を行った結核菌ゲノム情報解析ツール Total Genotyping Solution for TB（TGS-TB）について、GReAT の収載データ数の増加に伴い、そのデータを活用し、薬剤耐性予測機能の高精度化を進めた。（再掲） ➤ わが国が結核低蔓延状況に近づいていることを踏まえて、罹患率低下の促進や今後の対策のあり方や検討するための研究開発を推進した。特に地方自治体や医療機関等の協力・連携を基盤とした結核対策の推進に資する研究開発を推進した。地方自治体や医療機関等との連携の元に高齢者施設・介護職員、住宅医療サービス提供者、喫煙者等を対象とした手引きを作成した。都市部及び地方における感染状況の分析に分子疫学的調査研究の有用性を証明した。接触者健診の質的改善を目的に接触者健診台帳システム構築を進めた。また、集団感染が疑われる接触者健診の症例を収集し手引き策定を進めた。潜在性結核感染症の診断のための、新しいツール（QFT-plus）の免疫低下における反応を検討し、重要な知見を得た。小児結核対策の症例検討会を実施し課題を明らかにするととも	【WHO の結核対策を受けた 2020 年までの低蔓延国入りに向けた研究の推進】 ・結核について、アジア地域を中心とした国内外の多剤耐性結核の菌株、核酸、ゲノム情報を収集し、国際的な結核データベース（GReAT）の拡充を行うとともに、構築した多剤耐性結核解析ツール（TGS-TB）を開発し、更に GReAT の収載データ数の増加に伴い、薬剤耐性予測機能の高精度化を進めた。また、国内外の多剤耐性結核を含む結核菌についてデータベース登録株の約 4 分の 1（約 900 株）についてデータ公開を行った。 ・地方自治体や医療機関等の協力・連携を基盤とした結核対策の推進に資する研究開発を推進し、地方自治体や医療機関等との連携の元に高齢者施設・介護職員、住宅医療サービス提供者、喫煙者等を対象とした手引きの作成、接触者健診の質的改善を目的とした接触者健診台帳システム構築や手引き策定、小児結核対策の症例検討会を実施し、普及啓発、人材育成に寄与する成果を得た。さらに、結核対策の質の向上を目的に結核患者・潜在性結核感染症の支援・管理のためのツール開発や、外国出生結核患者対策のための情報収集を行った。 ・結核 DNA ワクチンについて、安		

	した感染症研究拠点を活用する、危険性の高い病原体等の治療法、ワクチン等の研究開発を国の指示に基づき推進する。	月 9 日 関係閣僚会議決定）等を踏まえて形成される高度安全実験施設を中核とした感染症研究拠点を活用する、危険性の高い病原体等の治療法、ワクチン等の研究開発を国の指示に基づき推進する。	況等	に普及啓発、人材育成に寄与する成果を得た。様々な状況にある結核患者に対する支援のために地域包括ケアとの連携、服薬アプリの開発、治療成績の分析を行い、対策の改善につながる知見を得た。医療提供体制の検討のために空気感染隔離室の実態に対する全国質問票調査を実施し情報を得た。外国出生結核患者の対応のために、スクリーニングの費用対効果分析、日本語学校への調査、対応困難事例の検討を行い、解決のための知見を得た。また、結核菌の分子疫学評価、検査の精度保証等の病原体に対する研究を進展させ、将来的な結核菌の病原体サーベイランスの全国的体制確立に向けた基盤を整備した。 ➤ 結核 DNA ワクチンについて、安全性に係る非臨床試験が完了し、国立病院機構を中心とした医師主導治験実施の準備のため、PMDA との対面助言を実施し、治験届けを提出した。（再掲） ・J-GRID では、結核の低蔓延国入りに向けた研究の推進を行った。主な取り組み及び成果は以下のとおり。 ➤ 多剤耐性結核等の新規治療薬の開発において、北里大学の天然化合物ライブラリーを用いた天然抽出物のスクリーニングを進め、多剤耐性結核菌に有効な新規抗結核薬候補物質を複数発見した。そのうち最適化合物については構造解析を終了し、特許出願済み。（再掲） ➤ 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確立した。本法により、イソニアジド耐性菌が迅速に検出できるようになった。また、リファンピシン耐性結核菌検出用テイラーメイド診断キットの開発に着手した。（再掲） ■2020 年の東京オリンピック・パラリンピックに向けた感染症サーベイランスの強化 ・新興・再興感染症事業では、感染症サーベイランスの強化を行った。主な取り組み及び成果は以下のとおり。 ➤ 麻しんについては排除認定の維持に向けた取り組みを引き続き支援。麻しんの排除状況の維持に資する研究の一環として、平成 29 年患者（麻しん 189	全性に係る非臨床試験が完了し、国立病院機構を中心とした医師主導治験実施に向け、治験届けを提出した。 ・天然化合物ライブラリーを用いた天然抽出物のスクリーニングを進め、多剤耐性結核菌に有効な最適化合物について構造解析を終了し特許出願した。 ・薬剤耐性結核の迅速診断キットの開発のため基盤技術確立し、テイラーメイド診断キットの開発に着手した。 これらの成果により、WHO の結核対策を受けた 2020 年までの低蔓延国入りに向けた研究の推進を行ったことは高く評価できる。 ＜今後の課題＞ ・引き続き、WHO の結核対策に沿って結核ワクチン開発、データベース構築を推進し 2020 年までの低蔓延化を推進する。 【2020 年の東京オリンピック・パラリンピックに向けた感染症サーベイランスの強化】 ・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り組みを行った。 ・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		
--	--	--	----	--	---	--	--

			例) の疫学・ウイルス遺伝子情報解析より、全例が輸入関連症例であることを明かにした。既存検査法の改良、検査体制強化等、国内サーベイランス体制の強化を推進した。麻しんリアルタイムPCR法を確立し、地方衛生研究所を対象に本法の精度管理を実施した。 ➤ ポリオの根絶に資する研究の一環として、ポリオ直接検出法 (ECRA 法) を改良し、従来よりも 5～10 倍程度回収率を上げることに成功した。企業と研究機関等が連携することによって、ワクチン量を低減可能な新規デバイス (マイクロニードル) を利用したポリオ貼るワクチンの開発支援を開始し、動物実験による有効性評価を実施した。また、sIPV (セービン不活化ポリオウイルスワクチン) の有効性の検証、品質管理の国際標準化、またエンテロウイルス D68 型 (EV-D68) 感染症も含めた急性弛緩性麻痺のサーベイランス体制の構築の準備など、広範な試みも含め、継続して取組みを実施している。 ➤ 韓国での中東呼吸器症候群 (MERS) の流行を踏まえ、MERS とインフルエンザを同時に検出可能な MERS-Flu LAMP 法の作製に成功した。この機構の支援によって開発された検出法を利用することで、感染研における確定検査の一層の改良が可能となった。(これにより 2015 年 11 月までに 5 件の行政検査を実施し、全検体陰性という結果を迅速且つ正確に確認した。さらに、希望した地方衛生研究所へ陽性コントロールの配布を行うことで、一次スクリーニングの精度管理に繋げることが可能になり、国のサーベイランス体制改善の一助となった。) また、MERS の迅速診断法に関しては、サウジアラビアの大学と共同研究を実施し、現地での臨床検体を用いた臨床性能試験を実施した。(再掲) ➤ リアルタイムに地域のウイルス性呼吸器感染症の発生動向を把握可能なネットワークシステムの構築のため、検疫所・地方衛生研究所等と協力し、インフルエンザ、MERS、麻しん・風しん等、ウイルス性呼吸器感染症を引き起こす様々な病原体を同時に鑑別診断可能な LAMP 法を基盤とした全自動 POC 迅速遺伝子検査システムの開発を進めた。(再掲)	法を基盤とした全自動 POC 迅速遺伝子検査システムの開発を進めた。更に、海外の大学・研究機関とも連携を行った。 ・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、北海道大学ザンビア拠点、東北大学フィリピン拠点、新潟大学ミャンマー拠点、東京大学中国拠点、東京医科歯科大学ガーナ拠点、大阪大学タイ拠点、神戸大学インドネシア拠点、岡山大学インド拠点、長崎大学ベトナム拠点への PS、PO、AMED 職員によるサイトビジットを実施た。 ・サーベイランス強化のための 4 大疾患 (インフルエンザ、AMR、デング熱、下痢症感染症) の基盤的研究やコホート調査の推進のため、機動的かつ有機的な追加交付を実施し、抗結核薬候補物質の同定、多剤耐性結核菌迅速診断法の開発、特定のウイルスの感染後の呼吸器感染症に対するリスク上昇に関する発見、RS ウイルス再感染の原因の特定、近隣国からのインドネシアへのロタウイルス株の伝播様式の解明、ロタウイルス分離株の遺伝子全ゲノム解析による非定型ウイルス株の成立・流行の要因およびワクチンの影響の解明、ジカ熱の流行とジカウイルス感染による小頭症の関連性の確認など、顕著な成果を上げた。 以上、2020 年の東京オリンピッ	
--	--	--	---	--	--

			➤ 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。 ・J-GRID では、感染症サーベイランスの強化を行った。主な取組み及び成果は以下のとおり。 ➤ 平成 28 年 9 月に PS、PO、AMED 職員による東北大学フィリピン拠点のサイトビジットを実施した。下痢症の原因ウイルスの抗原性と伝播メカニズム解明のための現地コホート調査の視察、備品の劣化等を確認し、コホート調査継続のための研究費の追加配分を決定し、研究支援強化を図った。 ➤ 平成 29 年 1 月に PS、AMED 職員による長崎大学ベトナム拠点 NIHE のサイトビジットを実施した。ヒアリングを実施し、新拠点長と打合せを行い、平成 29 度の研究計画の推進向けて、ベトナム拠点の特徴を生かした、現地だからこそなしうる蚊媒介性感染症原因ウイルスの侵淫状況の調査をより強化できるよう研究体制を整えた。また、NIHE の小児患者よりジカウイルス感染が確認され、長崎大学へ調査研究の協力を要請があるとの報告を受け、追加配分を決定し、ジカウイルス感染の研究強化を図った。 ➤ 平成 29 年 1 月に PS、AMED 職員による新潟大学ミャンマー拠点のサイトビジットを実施した。インフルエンザと呼吸器ウイルスの解析、及びミャンマーにおける小児重症肺炎の研究において、現地コホート調査の視察、備品の劣化等を確認し、コホート調査継続のための研究費の追加配分を決定し、研究支援強化を図った。 ➤ 平成 30 年 9 月に PS、PO、AMED 職員による北海道大学ザンビア拠点、東京医科歯科大学ガーナ拠点のサイトビジットを実施した。アフリカにおけるサーベイランスにおいて、現地研究者による研究進捗報告会を行い、備品の劣化等を確認し、研究費の追加配分を決定し研究支援強化を図った。 ➤ ベトナム拠点において、NIHE 及び WHO と協力し、ベトナム中央高地 Dak Lak 省地域におけるジカ熱の流行とジカウイルス感染による小頭症の関連性を確認した。今回ベトナムで確認されたジカウイルス感染による小頭症例は、診断データを添えて論文報告された症例としては、東南アジアで初めてとなる。	ク・パラリンピックに向けた感染症サーベイランスの強化に対する取り組みの実施やそれに対応する成果をあげたことは高く評価できる。 ＜今後の課題＞ ・2020 年東京オリンピック・パラリンピックに向け、海外から本邦へ輸入される可能性のある感染症についてサーベイランス強化を引き続き支援する。		
--	--	--	--	---	--	--

			➤ インドネシア拠点において、現地の健康なボランティア（無症候者）の便中から高率にノロウイルスが検出されることを分子疫学的に証明した。この結果は無症候感染者がノロウイルス感染症の発生源となることを示唆した。 ➤ 神戸大学インドネシア拠点において、小児急性胃腸炎症例の便中ロタウイルスを解析し、2015 年から 2016 年に Equine-like （ウマ様）G3 ロタウイルスが流行していたことを証明した。研究成果によって、近隣国からインドネシアへのロタウイルス株の伝播様式の解明が期待される。 ➤ 岡山大学インド拠点での下痢症感染症の予防－診断－創薬における国際協同研究において、インドでのロタウイルス分離株の遺伝子全ゲノム解析により、非定型ウイルス株の成立・流行の要因、ワクチンの影響等について明らかにした。 ➤ フィリピン拠点において、RS ウイルス（Respiratory Syncytial Virus）に再感染した 4 名の小児から検出されたウイルスから、抗原タンパク（F タンパクと G タンパク）の特定の部位にアミノ酸置換が見出された。F タンパクと G タンパクのアミノ酸置換により抗原性が変化したウイルスが再感染を引き起こした可能性があることを示唆した。 ➤ フィリピン拠点において、疫学調査によって、アデノウイルス・インフルエンザウイルス・パラインフルエンザウイルス・ライノウイルスに感染した小児は、その後呼吸器感染症に罹患するリスクが高まることがわかった。			
これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、 ・得られた病原体（インフルエンザ、デング熱、下痢症感染症、薬剤耐性菌）の全ゲノムデータベース等を基にした、薬	これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、 ・得られた病原体（インフルエンザ、デング熱、下痢症感染症、薬剤耐性菌）の全ゲノムデー	<評価指標> 【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	・得られた病原体（インフルエンザ、デング熱、下痢症感染症、薬剤耐性菌）の全ゲノムデータベース等を基にした、薬剤ターゲット部位の特定及び新たな迅速診断法等の開発・実用化の状況： ➤ 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			

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 ・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 を、2030年までの達成目標として、 ・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） ・新たな抗菌薬・抗ウイルス薬等の開発 ・WHO、諸外国と連携したポリオ、麻疹などの感染症の根絶・排除の達成（結核については2050年までの達成目標） を目指すものとする。	タベース等を基にした、薬剤ターゲット部位の特定及び新たな迅速診断法等の開発・実用化 ・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 を、2030年までの達成目標として、 ・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） ・新たな抗菌薬・抗ウイルス薬等の開発 ・WHO、諸外国と連携したポリオ、麻疹などの感染症の根絶・排除の達成（結核については2050年までの達成目標） を目指すものとする。	及び新たな迅速診断法等の開発・実用化 ・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 【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) ・新たな抗菌薬・抗ウイルス薬等の開発 ・WHO、諸外国と連携したポリオ、麻疹などの感染症の根絶・排除の達成（結核については2050年までの達成目標） ＜モニタリング指標＞ ・応募件数及び採択件数 ・事業に参画している研究者延べ人数 ・PMDA への薬事戦略相談	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。 ➤ 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。（再掲） ➤ コリスチン耐性因子 <i>mcr-1</i> を産生するコリスチン耐性株を簡便、迅速に検出する試験法の構築のため、化合物ライブラリーから、MCR-1 を阻害する物質を複数見出し、効果について検討を行った。（再掲） ➤ 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。（再掲） ・新たなワクチンの開発の状況（例：インフルエンザに対する万能ワクチン等）：			
---	---	---	---	--	--	--

			を行った研究 開発課題数 ・機動的な研究 推進のため年 度内に契約変 更を実施した 課題数	➤ ノロウイルスワクチンについては、第 1 世代ノロウイルスワクチンシーズに関する企業とライセンス契約締結（企業導出）が完了し、新たな次世代ノロウイルスワクチンシーズの開発も開始した。（再掲） ➤ 国内初の不活化経鼻インフルエンザワクチン実用化に向け第 I 相臨床試験（企業治験）が平成 27 年 10 月より開始されるとともに、平成 29 年度第 II 相試験が完了し、現在第 III 相試験を実施中。さらなる成果として、多量体 IgA 抗体の存在と効果を世界で初めて発見し、経鼻インフルエンザワクチンの効果を裏付ける結果を確認した。また、四量体型 SIgA 抗体を作製する技術を新規開発し、単量体や二量体、四量体の IgA 抗体を人工的に作製することに成功した。本技術を用いることで、SIgA 抗体は四量体化すると単量体では不活化できないウイルスも不活化できることが明らかとし、その効果について検証を行った。（再掲） ➤ インフルエンザウイルス全粒子不活化ワクチン開発において、PMDA RS 戦略相談を経て治験届を提出し、第 I / II 相臨床試験として治験を開始した。（再掲） ➤ エボラウイルスワクチンについて、候補ワクチンの製造を開始し、非臨床試験の開始に向けた準備を行った。（再掲） ➤ ジカウイルスワクチンならびに新規インフルエンザワクチンについては、企業と研究機関等と連携し、ワクチンシーズの選定及び非臨床試験の一部を開始した。（再掲） ・新たな抗菌薬・抗ウイルス薬等の開発の状況： ➤ デング熱対策に資する研究において、北里大学天然化合物ライブラリーより確認された抗ウイルス活性を示す候補化合物において、引き続き高い抗デング活性を示す安定な候補物質を数種類見出し、分子構造の解析を実施した。（再掲） ➤ 多剤耐性結核等の新規治療薬の開発において、北里大学の天然化合物ライブラリーを用いた天然抽出物のスクリーニングを進め、多剤耐性結核菌に有効な新規抗結核薬候補物質を複数発見した。そのうち最適化合物については構造解析を終了し、特許出願済み。（再掲）			
--	--	--	--	--	--	--	--

			➤ カルバペネム耐性腸内細菌科細菌ゲノムデータベースを活用し、多剤耐性菌感染症に有効な新規抗菌薬の候補物質を見出し、平成 30 年度より創薬戦略部に課題を橋渡しすることにより、新規抗菌薬の導出に向けて開発を進めた。 ➤ 多剤耐性菌に有効な新規抗菌薬シーズ探索において、大学と創薬支援戦略部が連携し、企業導出の可能性を検討すると共に、知財部と本件の知財化の可能性を見出し支援した。(再掲) ➤ 超多剤耐性グラム陰性菌に対する新規抗菌化合物を天然物由来ライブラリーから選定し、<i>in vitro</i> の系において高い有効性を示す化合物を見出した。(再掲) ➤ 深海微生物由来物質のスクリーニングからメチシリン耐性黄色ブドウ球菌及びバンコマイシン耐性腸球菌に対して抗菌活性のある新規物質を発見し、構造解析をすすめた。 ➤ メチシリン耐性黄色ブドウ球菌および多剤耐性緑膿菌に感染した皮膚潰瘍を対象とする光線力学療法について、ヒトを対象とした臨床研究で有効性を見出した。また、医師主導治験に向けた GLP 試験実施のための準備を実施した。(再掲) ・WHO、諸外国と連携したポリオ、麻しんなどの感染症の根絶・排除の達成の状況： ➤ ポリオの根絶に資する研究の一環として、ポリオ直接検出法 (ECRA 法) を改良し、従来よりも 5～10 倍程度回収率を上げることに成功した。企業と研究機関等が連携することによって、ワクチン量を低減可能な新規デバイス (マイクロニードル) を利用したポリオ貼るワクチンの開発支援を開始し、動物実験による有効性評価を実施した。また、sIPV (セービン不活化ポリオウイルスワクチン) の有効性の検証、品質管理の国際標準化、またエンテロウイルス D68 型 (EV-D68) 感染症も含めた急性弛緩性麻痺のサーベイランス体制の構築の準備など、広範な試みも含め、継続して取組みを実施している。(再掲)) ➤ 日本を含むアジア地域で問題となっている、治療困難な多剤耐性結核菌を中心とした結核菌について、国内、中国、韓国、ベトナム、モンゴル、台湾、フィリピン等から分離株及びゲノムデータの			
--	--	--	--	--	--	--

			収集を行い、結核菌ゲノムデータベース（GReAT）の拡充を図った。これにより、質・規模ともに世界的に類をみない優位性の高いデータベースへと成長した。更に、国内外の多剤耐性結核を含む結核菌について登録株の約 4 分の 1（約 900 株）についてデータ公開を行った。また一昨年度までに開発を行った結核菌ゲノム情報解析ツール Total Genotyping Solution for TB (TGS-TB)について、GReAT の収載データ数の増加に伴い、そのデータを活用し、薬剤耐性予測機能の高精度化を進めた。（再掲） ➤ わが国が結核低蔓延状況に近づいていることを踏まえて、罹患率低下の促進や今後の対策のあり方や検討するための研究開発を推進した。都市部及び地方における感染状況の分析に分子疫学的調査研究の有用性を証明した。接触者健診の質的改善を目的に接触者健診台帳システム構築を進めた。また、集団感染が疑われる接触者健診の症例を収集し手引き策定を進めた。潜在性結核感染症の診断のための、新しいツール(QFT-plus)の免疫低下における反応を検討し、重要な知見を得た。小児結核対策の症例検討会を実施し課題を明らかにするとともに普及啓発、人材育成に寄与する成果を得た。様々な状況にある結核患者に対する支援のために地域包括ケアとの連携, 服薬アプリの開発, 治療成績の分析を行い、対策の改善につながる知見を得た。医療提供体制の検討のために空気感染隔離室の実態に対する全国質問票調査を実施し情報を得た。外国出生結核患者の対応のために、スクリーニングの費用対効果分析、日本語学校への調査、対応困難事例の検討を行い、解決のための知見を得た。（再掲） ➤ 結核 DNA ワクチンについて、安全性に係る非臨床試験が完了し、国立病院機構を中心とした医師主導治験実施の準備のため、PMDA との対面助言を実施し、治験届けを提出した。（再掲） ➤ 麻しんの排除状況の維持に資する研究の一環として、麻しんリアルタイム PCR 法を確立し、地方衛生研究所を対象に本法の精度管理を実施した。引き続き、麻しんの排除状況の維持に向けた取組みを支援することにより、既存検査法の改良、検査体制強化等、国内サーベイランス体制の強化を推			
--	--	--	--	--	--	--

			進した。(再掲) ➤ リアルタイムに地域のウイルス性呼吸器感染症の発生動向を把握可能なネットワークシステム構築のため、検疫所・地方衛生研究所等と協力し、インフルエンザ、MERS、麻しん・風しん等、ウイルス性呼吸器感染症を引き起こす様々な病原体を同時に鑑別診断可能な LAMP 法を基盤とした全自動 POC 迅速遺伝子検査システムの開発を進めた。MERS の迅速診断法に関しては、サウジアラビアの大学と共同研究を実施し、現地での臨床検体を用いた臨床性能試験を実施した。(再掲) ■医療分野研究開発推進計画 達成すべき成果目標 (KPI) ・グローバルな病原体・臨床情報の共有体制の確立を基にした、病原体に関する全ゲノムデータベースの構築、生理学的及び臨床的な病態の解明、及びアジア地域における病原体マップの作成： 全ゲノムデータベースを構築した（平成 28 年 3 月）（一部疾患は平成 28 年 4 月末の公開予定）。 薬剤耐性ゲノムデータベース (GenEpid-J) を用いてコリスチンに対する耐性遺伝子を日本で初めて確認した（平成 28 年 1 月）。 デングウイルス病原体マップを作成し、逐次更新した（平成 28 年 3 月）。 ・得られた病原体（インフルエンザ、デング熱、下痢症感染症、薬剤耐性菌）の全ゲノムデータベース等を基にした、薬剤ターゲット部位の特定及び新たな迅速診断法等の開発・実用化の状況： 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。 カルバペネム耐性腸内細菌科細菌ゲノム情報の一部について、公開ゲノムデータベースであるDNA Data Bank of Japan (DDBJ)に登録を開始した。(再掲) ・ノロウイルスワクチン及び経鼻インフルエンザワクチンに関する臨床研究及び治験の実施並びに薬事承認の申請の状況： ノロウイルスワクチンについては、ワクチンシーズの企業導出が調整中であり、また新たな次世代ワクチンシーズの開発研究も開始した。(再掲) 経鼻インフルエンザワクチンについては、平成28年度中に企業導出を達成し、平成29年度中に企業治験(第Ⅱ相)が完了した。現在第Ⅲ相試験を実施中。(再掲) ジカウイルスについては、ゲノム情報等を元にした迅速診断法(RT-LAMP法)の海外流行地における臨床性能試験を完了し、国内薬事承認申請を行った。(再掲) ・新たなワクチンの開発の状況(例：インフルエンザに対する万能ワクチン等)： インフルエンザウイルス全粒子不活化ワクチン開発において、PMDA RS 戦略相談を経て治験届を提出し、第Ⅰ/Ⅱ相臨床試験として治験を開始した。(再掲) エボラウイルスワクチンについて、候補ワクチンの製造を開始し、非臨床試験の開始に向けた準備を行った。(再掲) ジカウイルスワクチンならびに新規インフルエンザワクチンについては、企業と研究機関等と連携し、ワクチンシーズの選定及び非臨床試験の一部を開始した。(再掲) ・新たな抗菌薬・抗ウイルス薬等の開発の状況： デング熱対策に資する研究において、北里大学天然化合物ライブラリーより確認された抗ウイルス活性を示す候補化合物において活性と細胞毒性を基準に評価した結果 2 サンプルを精製候補とし			
--	--	--	---	--	--	--

			て選択した。(再掲) 深海微生物由来物質のスクリーニングからメチシリン耐性黄色ブドウ球菌及びバンコマイシン耐性腸球菌に対して抗菌活性のある新規物質を発見した。超多剤耐性グラム陰性菌に対する新規抗菌化合物を企業の有する天然物由来ライブラリーから選定した候補化合物の改変を行い、広いスペクトラムの抗菌活性をもつ物質を得た。また、工業製品化に向けたポリマー型抗菌剤の開発を推進した。(再掲) 多剤耐性結核等の新規治療薬の開発において、北里大学の天然化合物ライブラリーを用いた天然抽出物のスクリーニングを進め、多剤耐性結核菌に有効な新規抗結核薬候補物質を発見した。(再掲) おける多剤耐性菌に有効な新規抗菌薬シーズ探索において、名古屋大学と創薬支援戦略部が連携し、企業導出の可能性を検討すると共に、知財部と本件の知財化の可能性を見出し支援した。(再掲) 多剤耐性結核等の新規治療薬の開発において、北里大学の天然化合物ライブラリーを用いた天然抽出物のスクリーニングを進め、多剤耐性結核菌に有効な新規抗結核薬候補物質を発見した。(再掲) ・WHO、諸外国と連携したポリオ、麻しんなどの感染症の根絶・排除の達成の状況： 麻しんについては排除認定の維持に向けた取り組みを引き続き支援。既存検査法の改良、検査体制強化等、国内サーベイランス体制の強化支援に寄与。さらに、平成 29 年患者（麻しん 189 例）の疫学・ウイルス遺伝子情報解析より、全例が輸入関連症例であることを明かにした。(再掲) ポリオについては、sIPV(セービン不活化ポリオウイルスワクチン)の有効性の検証、品質管理の国際標準化、またエンテロウイルス D68 型(EV-D68)感染症も含めた急性弛緩性麻痺のサーベイランス体制の構築の準備など、広範な試みも含めて取り組みを行っている。(再掲) ポリオの根絶に資する研究の一環として、企業と研究機関等が連携することによって、ワクチン量を低減可能な新規デバイス(マイクロニードル)を利用したポリオ貼るワクチンの開発支援を開始し、本デバイスの試作品を完成した。(再掲)			
--	--	--	---	--	--	--

					平成27 年度	平成28 年度	平成29 年度	平成30 年度	合計			
				応募件数及び 採択件数	88 件及 び 31 件	102 件 及び28 件	320 件 及び 54 件	91 件及 び 30 件	601 件 及び 143 件			
				事業に参画し ている研究者 延べ人数	906 人	807 人	800 人	648 人	3,161 人			
				PMDA への薬 事戦略相談を 行った研究開 発課題数	0 件	2 件	2 件	4 件	8 件			
				機動的な研究 推進のため年 度内に契約変 更を実施した 課題数	3 件	75 件	51 件	43 件	172 件			

4. その他参考情報
特になし。

1. 当事務及び事業に関する基本情報			
I－(2)―⑨	(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施 ⑨疾患に対応した研究<難病>		
関連する政策・施策	－	当該事業実施に係る根拠（個別法条文など）	国立研究開発法人日本医療研究開発機構法（平成 26 年 5 月 30 日法律第 49 号）第 16 条
当該項目の重要度、困難度	重要度、優先度等は高い	関連する研究開発評価、政策評価・行政事業レビュー	健康・医療戦略の実行状況と今後の取組方針 2017（平成 29 年 7 月 26 日健康・医療戦略推進本部決定） 医療分野研究開発推進計画の実行状況と今後の取組方針 2017（平成 29 年 7 月 26 日健康・医療戦略推進本部決定） 政策評価・行政事業レビュー（内閣府 0034、文部科学省 0252、厚生労働省 884-9)

2. 主要な経年データ												
①主な参考指標情報							②主要なインプット情報（財務情報及び人員に関する情報）					
	基準値等	27 年度	28 年度	29 年度	30 年度	31 年度		27 年度	28 年度	29 年度	30 年度	31 年度
応募件数		171 件	412 件	441 件	73 件		予算額（千円）	10,011,792	10,202,693	9,697,274	8,938,379	
採択件数		25 件	97 件	147 件	15 件		決算額（千円）	9,891,837	9,791,129	9,471,399	9,093,736	
シンポジウム等の開催件数		3 件	1 件	3 件	1 件		経常費用（千円）	9,891,728	9,866,636	9,580,274	9,166,341	
サイトビジット・班会議・研究者打合せ・電話会議等の実施/参加回数		32 件	138 件	160 件	84 回		経常利益（千円）	0	0	17	0	
PS/PO 会議実施回数		3 件	6 件	7 件	6 件		行政サービス実施コスト（千円）	9,891,728	9,787,867	9,458,773	9,092,243	
新規薬剤の薬事承認や既存薬剤の適応拡大（2020 年頃まで）	11 件（累積）	3 件	3 件	4 件（累積）	6 件（累計）		従事人員数	10 人	12 人	12 人	13 人	
欧米等のデータベースと連携した国際共同臨床研究及び治験の開始		－	開始済	開始済	開始済							

	(2020 年頃まで)												
	未診断又は希少疾患に対する新規原因遺伝子又は新規疾患の発見を5件以上達成(2020 年頃まで)	5 件（累積）	－	6 件 （累積）	9 件 （累積）	16 件（累計）							

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

注2）上記以外に必要と考える情報があれば欄を追加して記載しても差し支えない

	中長期目標	中長期計画	主な評価軸（評価の視点）、指標等	法人の主な実績等・自己評価		主務大臣による評価			
				主な業務実績等	自己評価	（見込評価）		（期間実績評価）	
						評価		評価	
	希少・難治性疾患（難病）の克服を目指すため、患者数が希少ゆえに研究が進まない分野において、各省が連携して全ての研究プロセスで切れ目ない援助を行うことで、難病の病態を解明するとともに、効果的な新規治療薬の開発、既存薬剤の適応拡大等を一体的に推進する。 具体的には、難病の克服を目指すため、治療法の開発に結びつくような新しい疾患の病因や病態解明を行う研究、医薬品、医療機器等の実用化を視野に入れた画期的	希少・難治性疾患（難病）の克服を目指すため、患者数が希少ゆえに研究が進まない分野において、各省が連携して全ての研究プロセスで切れ目ない援助を行うことで、難病の病態を解明するとともに、効果的な新規治療薬の開発、既存薬剤の適応拡大等を一体的に推進する。 具体的には、未だ治療法の確立していない難病等に対し、治療法の開発に結びつくような新しい疾患の病因、病態解明を行う研究を推進するため、疾患モデル	<評価軸> 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。 <モニタリング指標> ・左記の評価軸に係る取組状況等	■疾患の原因・病態解明を行う研究、画期的な診断法・治療法・予防法の研究の推進 ・研究の推進にあたり PD・PS・PO 等による研究開発マネジメントに取り組んだ。具体的には、サイトビジットや研究課題のヒアリングの開催などによる進捗状況把握に加え、Risk & Impact based approach to management 等にもとづく半年毎の進捗報告（研究および予算執行状況）の分析と課題抽出を実施し、研究費の規模や社会的インパクト、開発上の懸念や問題の予想可否（Risk）により分類し、課題管理の時期や関与度合いを最適化するとともに、指標も定量的又は定性的な手法を使い分けた効果的な研究開発管理を行った。また、研究開発提案書により適切な評価が実施できるよう別紙を追加し、応募課題の研究テーマと評価委員の専門性で最適な評価委員を査読者に充当するためのマッチングシステムを稼働させるとともに、科学技術調査員として非臨床試験に対し助言をいただく PMDA 毒性専門家に加え新たに治験・臨床研究の専門家を追加し、より専門的な評価及び助言が可能となる体制を強化した。さらに、採択している研究課題を疾患、公募枠（開発フェーズ）にて整理し、公表論文等で示されている開発フェーズ毎の次ステップへの成功確率を元に事業として理想的なポートフォリオ案を作成し、今後の公募設計の参考とした。ま	<評価と根拠> 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。 H30 年度までに 6 件の薬事承認を達成しており、更に、脳・脊髄疾患の歩行障害に対する HAL-HN01 は薬事申請を予定している。また、医師主導治験が 26 件で、海外で薬事承認を取得するケースや体外診断医薬品等も合算すると、KPI の薬事承認取得 11 件は達成可能と考える。また、iPS 細胞モデルにて見出された治験薬による筋萎縮性側索硬化症（ALS）治験を開始している。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 418 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、診断困難な累計 3,356 家系〔9,524 検体〕を登録（2018 年 7 月）のうえ半年以内に解析結果を返却する取り組みを				

	な診断法や治療法及び予防法の開発を目指す研究を推進するとともに、データネットワークや解析コンソーシアムの整備、診断委員会を運営する拠点病院の整備など希少・未診断疾患に対する全国規模の診断体制を構築するための研究を推進する。	の作成や生体試料の収集、管理、運用するシステムに関する研究を行い研究基盤の創出を図りつつ、遺伝子解析等、病因、病態解明を行う研究及びシーズの探索を行う研究を推進する。また、実用化を視野に入れた画期的な診断法、治療法及び予防法の開発を目指す研究を推進するため、薬事承認に必要とされる前臨床試験及び臨床試験を実施して薬事承認の取得を目指す研究や診療に関する質の高いエビデンスを提供するための研究を促進し、研究成果の実用化を図る。	た、ステップ2（医師主導治験）については、開発候補物を新規候補物とドラッグリポジショニングによる効能追加に分けた公募設計により、研究開発費の最適化と実現可能性の高い課題の採択を達成した。 - 平成30年度、難治性疾患実用化研究事業において、委託研究開発として以下の222件の研究開発課題の課題管理を実施した。 【治療法の開発に結びつくような新しい疾患病因や病態解明を行う研究（H30年度）】 - 疾患モデルの作成や生体試料の収集、管理、運用するシステムに関する研究（事業内の定義で「オミックス解析を通じて希少難治性疾患の医療に貢献する基盤研究（オミックス解析拠点）」に相当）及び遺伝子解析等、病因、病態解明を行う研究（事業内の定義で「未診断疾患イニチアチブ（Initiative on Rare andUndiagnosed Diseases: IRUD）」に関連する課題）…13 課題 【治療法の開発に結びつくような新しい疾患病因や病態解明を行う研究】 - 希少難治性疾患の克服に結びつく病態解明研究…41 課題 【シーズの探索を行う研究】 - 薬事承認を目指すシーズ探索研究（ステップ0）…73 課題 【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】 「希少難治性疾患に対する画期的な医薬品医療機器等の実用化に関する研究：治験準備（ステップ1）」…11 課題 「希少難治性疾患に対する画期的な医薬品医療機器等の実用化に関する研究：治験（ステップ2）」…26 課題 診療に関する質の高いエビデンスを提供するための研究（事業内の定義で「診療に直結するエビデンス創出研究」に相当）…55 課題	実施した。また、難病プラットフォームではレジストリー構築支援の個別相談会を実施し累計59件に達するなど、データシェアリングの環境整備は更に加速していくものとする。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マッチングシステムの開発・導入や、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」の導入を開始した。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。IRDIRC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」を通じた症例・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KPI5件に対して既に16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。以上から「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ため評価をSとする。 【疾患の原因・病態解明を行う研究、画期的な診断法・治療法・予防法の研究の	
--	--	---	---	--	--

			【その他、本プロジェクトのもとで研究基盤の創出や研究成果の実用化を図る研究】 ➤ 「希少難治性疾患の研究及び医療の発展に資する情報基盤構築研究（事業内の定義で「難病プラットフォーム」に相当）…1 課題 ➤ 医と食をつなげる新規メカニズムの解明と病態制御法の開発…3 課題 ・上記を実施した結果として得られた主要な成果や進捗状況の事例、将来の成果創出への期待等は以下のとおりである。 【難病の病態解明】 「希少難病の高精度診断と病態解明のためのオミックス拠点の構築」: 699 例の小児てんかん患者から採取した血液白血球から DNA を採取し、次世代シーケンサーを用いた全エクソーム解析を用いて疾患原因遺伝子の検索を行い、WAVE 調節複合体の構成タンパクの一つである CYFIP2 の 87 番目のアミノ酸変異が、早期発症型のてんかん性脳症を引き起こす原因となることを世界で初めて見出した。本成果は国際医学雑誌 <i>Annals of Neurology</i> に発表している。 【効果的な新規治療薬の開発、既存薬剤の適応拡大等】 医師主導治験を実施中ないし実施準備している課題が 26 課題と多数あり、今後更なる医薬品、医療機器等の薬事承認（実用化）が期待される。 その中には「iPS 細胞創薬に基づいた新規筋萎縮性側索硬化症(ALS)治療薬であるロピニロール塩酸塩の実用化第 1/2a 相試験」のように、実際のヒト脊髄における病態を十分に再現し得たモデルは未だ存在しない ALS において、健常者由来及び ALS 患者さん由来の血液細胞から作った iPS 細胞を誘導して脊髄運動ニューロンを作製したうえで治験薬候補物（ロピニロール塩酸塩）を見出し、当該治験薬を用いた医師主導治験を開始した。本件は動物モデルではなく iPS 細胞モデルを駆使した iPS 細胞創薬という革新的な手法で治験を開始した事例も含まれている。	【推進】 ・課題管理としてはステージゲート評価としての TPP や体制、企業連携について、AMED 全体で導入する前より当事業で着手していたことに加え、評価の高質化のため客観的評価に向けた TPP や企業連携等、公募要領や提案書のフォームを独自開発し AMED 他事業にも紹介している。 ・希少難治性疾患の研究及び医療の発展に資する情報基盤構築研究「難病プラットフォーム」を立ち上げ、難病情報の集約・統合と二次利用が進むよう、統合システムや各種手順書、二次利用に必要な倫理的検討等を実施したこと、そこに既に多くの難病研究班からレジストリのカatalog情報を集め公開していることは評価できる。 ・オープンサイエンスの推進に向け、難病克服プロジェクトにおける「ゲノム医療実現のためのデータシェアリングポリシー」を策定し公開したことは評価できる。 ・次世代シーケンサーやオミックス解析といった新しい技術の活用により治療ターゲットの探索が加速するとともに、モデル生物コーディネーティングセンターにより既存の IRUD 活動と相乗効果が生まれ、原因遺伝子同定が効率化した。	
--	--	--	--	---	--

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

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

				➤ 課題の事前評価においては、公募要領にターゲット・プロダクト・プロフィールの記載を追加する等、研究者が研究計画を戦略的に考える機会を設定し事前評価にて開発の必要性や可能性を具体的に評価できる仕組みを導入していたが、更に今年度はステップ1 課題においては実施済み及び実施予定の非臨床試験の概要とガントチャートを別紙として提出することを必須とし、研究計画の充足性、効率性及び実行可能性を評価できる型式とした。 ➤ パイプラインの分析を実施し、PSPO 会議にてフェーズ毎の最適シーズ数の試算と今後の公募設計への反映を決定のうえ、それに参考に公募枠毎の採択数を決定した。 ➤ 若手研究者の育成に関する取組として、若手研究者が研究開発代表者として研究を推進する公募（若手枠）を実施した。また、過去の若手枠で採択された若手研究者を対象に、教育講演と進捗ヒアリングを実施した。教育講演では捏造と誤解されないための適切な画像処理に加え、病態解明後に必要な知識であるシーズ最適化と非臨床試験の実務について外部演者を用意し、加えて次ステップ（ステップ0）で評価の高い研究者より研究の進め方についての講演を企画した。進捗ヒアリングでは相互評価方式という第三者的な視点にて自身の研究を評価できるトレーニング機会を設け研究者育成を推進した。 ➤ 中枢神経疾患に対する医薬品開発を加速すべく、日本ブレインバンクネットで集積している剖検脳等を用いることを条件とした公募を実施し 3 課題採択した。これにより創薬候補物の探索や、創薬候補物の最適化に向けた各種疾患モデルでの病態再現の補完等により、疾患の病因・病態機序に基づくシーズ探索やバイオマーカー研究の発展が期待できる。 ➤ 「医薬品条件付き早期承認品目該当性相談」を活用して治療薬開発の早期実用化が達成できるよう、有効性の代替エンドポイントになりえるバイオマーカーの開発を目標とする公募を実施し 2 課題採択した。 ・遺伝子治療の研究開発促進を目的として、創薬戦略			
--	--	--	--	--	--	--	--

				部による新規事業である「遺伝子・細胞治療研究開発基盤事業」と連携し、本領域に造詣の深い PO を新たに委嘱し評価委員会の体制も整備した上で新規シーズ探索の公募を実施し、3 課題採択した。更に、遺伝子細胞治療に関する連携シンポジウムを開催（11/21）し、情報共有を行った。			
	また、疾患特異的 iPS 細胞を用いて疾患の発症機構の解明、創薬研究や予防・治療法の開発等を推進することにより、iPS 細胞等研究の成果を速やかに社会に還元することを目指す。	また、難病患者由来の疾患特異的 iPS 細胞を用いて疾患の発症機構の解明、創薬研究や予防・治療法の開発等の推進を行う。	＜評価軸＞ ・疾患特異的 iPS 細胞を用いて疾患の発症機構の解明、創薬研究や予防・治療法の開発等を推進したか。 ＜モニタリング指標＞ ・左記の評価軸に係る取組状況等	■疾患特異的 iPS 細胞を用いた疾患の発症機構の解明、創薬研究や予防・治療法の開発等 ・ステップ2として「iPS細胞創薬に基づいた新規筋萎縮性側索硬化症(ALS)治療薬であるロピニロール塩酸塩の実用化第 1/2a 相試験」を採択し、iPS細胞モデルを駆使して見出した治験薬（ロピニロール塩酸塩）による医師主導治験を開始した。 ・「自己炎症性症候群 Blau 症候群と中條西村症候群の病態解析と新規治療標的探索」において、iPS/ES細胞を CRISPR/Cas9 ゲノム編集技術を用いて作製し、中條西村症候群患者さん由来 iPS/ES 細胞から作製した単球系細胞を用いた解析により中條西村症候群の病態再現に成功した。本成果は国際幹細胞学会（ISSCR）が発行する科学誌「Stem Cell Reports」にてオンライン公開された。	【疾患特異的iPS細胞を用いた疾患の発症機構の解明、創薬研究や予防・治療法の開発等】 ・疾患特異的 iPS 細胞を用いた難病研究での成果を、難治性疾患実用化研究事業が受け皿となる形で実用化への研究が継続する中で、病態解明から治療候補薬の同定に至る等、顕著な成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められる。 ・iPS 細胞創薬という革新的な手法を通じ、従来手法（動物モデル）をスキップした医師主導治験への移行を達成した。さらに、有効性のサロゲートエンドポイントや事前の効果判定に利用可能なバイオマーカー探索を研究に含める公募を含めることで、開発計画の更なる進展を加速させた。		
		さらに、データネットワークや解析コンソーシアムの整備、診断委員会を運営する拠点病院の整備など希少・未診断疾患に対する全国規模の診断体制を構築するための研究を推進する。		■希少疾患や未診断疾患に関する研究 ・平成 30 年度、難治性疾患実用化研究事業において、未診断疾患イニシアチブ(IRUD)としてAMED が平成 27 年度に開始し、AMED がその推進に特に主体的に関わる研究課題として、IRUD コーディネーティングセンターを募集し、従来AMED が担っていた調整機能の多くを移管する仕組みを整え、研究体制をコーディネートする体制へと進展した。 ・上記を実施した結果として得られた主要な研究上の成果及びAMED が主体的に関わることで得られた成果として、35 の大学病院に診療科横断的診断委員会を設置する等、全国の大学病院、地域中核病院を含む全国を網羅する診断ネットワークは、37（診断）拠点病院と 375 協力病院の計 418 施設となり、通常の医療体制では診断が困難な患者を累計で 3,356 家系 (9,524 検体) (2018 年 7 月末時点)	【希少疾患や未診断疾患に関する研究】 ・35 の大学病院に診療科横断的診断委員会を設置する等、全国の大学病院、地域中核病院を含む全国を網羅する診断ネットワークは 418 施設に拡充し、診断困難な 3,356 家系 (9,524 検体) の登録を達成した。 ・KPI 目標である 5 件を大幅に超える 16 件の新規疾患原因遺伝子変異の同定・公開し、現在もその成果は増加し続けている。 ・モデル生物コーディネーティングセンターの設置により、ショウジョウバエやゼブラフィッシュ等の研究者と臨床研究者を連携させ、未解明の遺伝子の機能解析を大幅に加速させた。		

			登録した。 ・症例情報の国際共有を念頭に IRUD に最適化したシステム IRUDEXchange では、日本国内での情報共有を行い、国内の検討のみでは確定診断に至らなかった症例について、適宜、表現型・候補遺伝子名（個人情報を含まない要約情報）を Matchmaker Exchange 等の国際的な情報共有システムを通じて共有する等の取組により、研究上の国際協力等を推進した。これにより、2 疾患の確定診断（論文準備中）ができた。 ・AMED での中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会基盤整備モデル事業等の取組と連携し、中央治験・倫理審査委員会（CIRB）を活用した審査を先駆的に実施し、37 の拠点病院の 31 施設で審査承認を得、1 施設で準備中であり、自施設で倫理審査を実施している 5 施設と合わせて IRUD 体制整備を促進した。 ・次世代シーケンサーでの解析能力を有する既存の機関（遺伝子拠点研究）と連携の上、国際標準の患者表現型・ゲノム情報データネットワークと 5 つの解析センターによって構成されるコンソーシアムとを有機的に連携させた IRUD 診断体制の構築を推進した。 ・AMED がその推進に特に主体的に関わった以上の取組みにより、IRUD において 809 例の患者(家系)について半年以内に解析結果を返却可能となった。IRUD 解析センターにおける解析での確定診断率は 36.9%であった（2018 年 7 月末時点）。新規疾患原因遺伝子変異の同定・公開は累計 16 件に達した。 ・その一方で、IRUD の研究開発代表者及び核となる研究者、並びに機構内関係部署の間で緊密な意思疎通を図るべく、最上位に位置づけられる推進会議、機構内のタスクフォース会議等を開催し、これらの機会等を通じて AMED 自ら積極的な研究支援を行った。未診断疾患イニシアチブの成果を発展させる研究（IRUD Beyond）分野では、治療等への橋渡しを目指す Beyond diagnosis、診断成功率の更なる向上を目指す Beyond genotyping さらなるデータシェアリング等による国際連携を推進する Beyond borders への取組を継続した。このうち、Beyond diagnosis では 2 課題の継続に加え、新た	・Matchmaker Exchange 等の国際的な情報共有システムを通じ研究上の国際協力等を推進するとともに、IRDiRC の加盟機関総会への参加や各種タスクフォースへの参加を通じて情報共有に努めた。 ・国際的な情報共有システムを利用することで、通常診療では困難であった既存難病の診断が可能になるとともに、日本のデータにより海外での診断が可能となった。 【難病プラットフォーム】 ・公開シンポジウムやレジストリ運営に必要な SOP や共通様式等の提供等のレジストリ構築支援を実施することで、既に 35 の研究班が難病プラットフォームを利用したレジストリ構築に着手している。	
--	--	--	--	---	--

				に平成 30 年度に 3 課題を採択した。Beyond genotyping では、未解明の遺伝子の機能解析のため、ナショナルバイオリソースプロジェクト（NBRP）と連携したモデル生物コーディネーティングネットワークとして、102 の未知の遺伝子の機能解析が進行中である。国内外の希少疾患データベースとの連携等、国際的なデータシェアリングに資する仕組み作りを推進した。 ・国際的な情報収集及び日本からの提言・発信、そして国内の希少疾患・難治性疾患の研究開発推進を目的として、国際希少疾患研究コンソーシアム（IRDiRC）に関する各種取組みを実施した。第 7, 8 回加盟機関総会（Consortium Assembly）にも参加し、IRDirRC Goal 2027 達成に向けた取り組みに対して共同すると共に、日本での希少疾患、特に難病に関する研究開発動向を加盟機関代表等参加者間で共有した。また IRDiRC の各種タスクフォースに、日本から有識者の参加をすすめ情報共有に努めた。 ■難病プラットフォーム ・レジストリ運営に必要な SOP や共通様式等の提供を開始し、実際に 35 の研究班に対しレジストリの構築支援を開始するとともに、188 名が参加する公開シンポジウムを開催しデータシェアリングを推進した。			
	これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、 ・新規薬剤の薬事承認や既存薬剤の適応拡大を11 件以上達成（ALS、遠位型ミオパチー等） ・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開始 ・未診断又は希少疾患に対する新規原因遺伝子又は新	これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、 ・新規薬剤の薬事承認や既存薬剤の適応拡大を11 件以上達成（ALS、遠位型ミオパチー等） ・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開始 ・未診断又は希少疾患に対する新規原因遺伝子又は新	<評価指標> 【2020 年までの達成目標】 ・新規薬剤の薬事承認や既存薬剤の適応拡大を 11 件以上達成（ALS、遠位型ミオパチー等） ・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 ・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	■医療分野研究開発推進計画 達成すべき成果目標（KPI） ・新規薬剤の薬事承認や既存薬剤の適応拡大件数：累計 6 件、うち平成 30 年度は 2 件（新規薬剤、新規体外診断薬の薬事承認） これらの他、患者を対象とした治験を実施している課題が多数あり、今後更なる医薬品、医療機器等の薬事承認（実用化）が期待される。 （内訳（過年度の成果を含む。）） ① 甲状腺軟骨固定用器具「チタンブリッジ」（平成 29 年 12 月承認） ② 重症多型滲出型紅斑眼傷害に対する輪部支持型ハードコンタクトレンズ「サンコン Kyoto-CS」（平成 28 年 2 月承認） ③ 神経・筋難病に対する下肢装着型補助ロボット「HAL 医療用下肢	【医療分野研究開発推進計画 達成すべき成果目標（KPI）】 ・KPI については他事業のレベルを大幅に超える厳しい条件を設定されているにも関わらず、新規原因遺伝子又は新規疾患の発見は5件の目標値に対して 16 件と 300%以上の達成、1 件の国際共同臨床研究については目標を達成のうえ現在も順調に被験者登録が進んでいる。更に、薬事承認取得については 11 件に対し 6 件という累計になっている。これは「製薬産業 2018-2019 てきすとぶっく（日本製薬工業協会）」における 25 社への調査で 2012 年-2016 年の承認取得数が低分子医薬品の薬事承認取得が 26 件（1 年あたり 1 社で約 1 件）であったという事実		

	規疾患の発見を5件以上達成を目指すものとする。	規疾患の発見を5件以上達成を目指すものとする。	件以上達成 ＜モニタリング指標＞ ・応募件数及び採択件数 ・事業に参画している研究者延べ人数 ・PMDA への薬事戦略相談を行った研究開発課題数 ・機動的な研究推進のため年度内に契約変更を実施した課題数	タイプ」(平成 27 年 11 月承認) ④ リンパ脈管筋腫症に対する mTOR 阻害剤「ラパリムス錠 1mg」(平成 26 年 7 月承認) ⑤ 「ミトコンドリア脳筋症・乳酸アシドーシス・脳卒中様発作 (MELAS) 症候群」に対するタウリン散 98%「大正」(平成 31 年 2 月承認) ⑥ 「炎症性腸疾患の疾患活動性評価の血清バイオマーカー」としての「ナノピア®LRG」(平成 30 年 9 月承認) ・その他： 希少疾患による歩行障害改善において「HAL®医療用」が EU で医療機器として CE 適用拡大となった。(平成 29 年 1 月)、そのデータには本事業で支援した日本における医師主導治験成績が利用されている。 ・原発性免疫不全症の新規疾患概念である STAT1 異常症 2 例について、確定診断後の病態解明を通じて行った骨髄移植により救命することができた (Journal of Allergy Clinical Immunology, 2018)。(その他、新規に見出された原発性免疫不全症の新規疾患概念等 39 例についても、確定診断が、新規治療の導入に繋がっている。) ・欧米等のデータベースと連携した国際共同臨床研究及び治験の開始:難治性疾患実用化研究事業において以下の取り組みが進行中である。 HTLV-1 関連骨髄症 (HAM) に対するステロイド製剤 (平成 28 年 7 月 27 日治験届提出):ステロイド製剤の国際共同治験では、平成 28 年度の患者登録開始以来、平成 31 年 1 月時点で同意取得 37 例、投与開始 32 例と順調に進捗している。 ・未診断又は希少疾患に対する新規原因遺伝子又は新規疾患の発見件数: 累計 16 件、うち平成 30 年度は 7 件 (論文発表等での公開) (内訳 (過年度の成果を含む。)) ① 武内・小崎症候群: CDC42 遺伝子 ② 小崎 Overgrowth 症候群: PDGFRB 遺伝子 ③ 無巨核球性血小板減少症を伴うとう尺骨癒合症: EVI1 遺伝子	からも非常に優れた成果と言える。 ・更に取得したデータにより海外での薬事承認が得られたものが6件以外に発生していたり、現時点でも 26 件の医師主導治験が進行しており、今後更なる薬事承認取得が期待できる。		
--	--------------------------------	--------------------------------	--	---	--	--	--

			④ Schimmelpenning-Feuerstein-Mims 症候群： BRAF 遺伝子 ⑤ ZTTK 症候群： SON 遺伝子 ⑥ Bosma arhinia microphthalmia 症候群： SMCDH1 遺伝子 ⑦ Hydranencephaly-like severe form of cortical dysgenesis: TUBA1A 遺伝子 ⑧ Intellectual disability with seizures and hypotonia: PIGG 遺伝子 ⑨ West 症候群: WDR45 遺伝子 ⑩ Clinical features of SMARCA2 duplication overlap with Coffin-Siris Syndrome： SAMRCA2 遺伝子 ⑪ Pontocerebellar hypoplasia： TOE1 遺伝子 ⑫Gabriele-de Vries syndrome 症候群： YY1 遺伝子 ⑬ 難治性てんかんと多発奇形症候群の異なる②疾患： PPP3CA 遺伝子 ⑭ ステロイドに反応性を示す一次性ネフローゼ症候群： ITSN2 遺伝子 ⑮ 新規ガラクトース血症（Type IV）： GALM 遺伝子 ⑯口蓋裂を伴う知的障害： NCOR1 遺伝子 ＊その他： 平成 31 年 1 月時点で未公表段階の情報 a) 短瞼裂＋先天性心疾患＋知的障害： 遺伝子名未公開 b) 大頭症＋胸郭変形＋知的障害： 遺伝子名未公開 c) 痙性対麻痺、知的障害、脳形成異常を持つ新規奇形症候群： 遺伝子名未公開 ＊参考：原発性免疫不全症の新規疾患概念 5 件発見された。 1) DBR1 異常症： DBR1 遺伝子（Cell, 2018） 2) IL23R 異常症： IL23R 遺伝子（Science Immunology, 2018） 3) IL12RB2 異常症： IL12RB2 遺伝子（Science Immunology, 2018） 4) PTEN 異常症： PTEN 遺伝子（Journal of Allergy Clinical Immunology, 2016） 5) IKBKB 異常症： IKBKB 遺伝子（Journal of Experimental Medicine, 2018）			
--	--	--	---	--	--	--

				・応募件数及び採択件数：446 件及び 146 件 ・事業に参加している研究者延べ人数：681 人 ・PMDA への薬事戦略相談を行った研究開発課題数：12 件 ・機動的な研究推進のため年度内に契約変更を実施した課題数：30 件			
--	--	--	--	--	--	--	--

4. その他参考情報
特になし。

1. 当事務及び事業に関する基本情報			
I－(2)―⑩	(2)基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施 ⑩健康・医療戦略の推進に必要なとなる研究開発事業		
関連する政策・施策	－	当該事業実施に係る根拠（個別法条文など）	国立研究開発法人日本医療研究開発機構法（平成 26 年 5 月 30 日法律第 49 号）第 16 条
当該項目の重要度、困難度	重要度、優先度等は高い	関連する研究開発評価、政策評価・行政事業レビュー	健康・医療戦略の実行状況と今後の取組方針 2017（平成 29 年 7 月 26 日健康・医療戦略推進本部決定） 医療分野研究開発推進計画の実行状況と今後の取組方針 2017（平成 29 年 7 月 26 日健康・医療戦略推進本部決定） 政策評価・行政事業レビュー（内閣府 0034、文部科学省 0252、厚生労働省 884-10）

2. 主要な経年データ												
①主な参考指標情報							②主要なインプット情報（財務情報及び人員に関する情報）					
	基準値等	27 年度	28 年度	29 年度	30 年度	31 年度		27 年度	28 年度	29 年度	30 年度	31 年度
応募件数		911 件	1,219 件	1,247 件	1,409 件		予算額（千円）	24,855,171	87,306,240	63,597,837	52,592,698	
採択件数		150 件	281 件	203 件	251 件		決算額（千円）	24,427,531	26,379,702	34,882,259	39,639,378	
シンポジウム等の開催件数		10 件	147 件	49 件	50 件		経常費用（千円）	24,864,653	26,496,041	30,639,396	33,935,141	
サイトビジット（班会議、研究者打合せ参加）回数		219 回	591 件	708 件	735 件		経常利益（千円）	15,566	492,669	583,790	2,027,242	
PS/PO 会議実施回数		62 回	89 件	53 件	53 件		行政サービス実施コスト（千円）	23,507,646	25,041,547	30,054,075	28,181,060	
							従事人員数	31 人	42 人	49 人	66 人	

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

注 2）上記以外に必要な情報があれば欄を追加して記載しても差し支えない

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

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

の実現に向けて期待の高い、新たな画期的シーズの育成に向けた革新的先端研究開発を推進する。 幅広い研究開発を安定的かつ効果的に促進するために不可欠な生物資源等を戦略的・体系的に整備するとともに、研究開発等の国際展開を推進する。	の実現に向けて期待の高い、新たな画期的シーズの育成に向けた革新的先端研究開発を推進する。 幅広い研究開発を安定的かつ効果的に促進するために不可欠な生物資源等を戦略的・体系的に整備する。 主要な海外ファンディング機関との協力協定や海外事務所も活用して研究開発等の国際展開を推進する。	な画期的シーズの育成に向けた革新的先端研究開発を推進したか。 ・幅広い研究開発を安定的かつ効果的に促進するために不可欠な生物資源等を戦略的・体系的に整備するとともに、研究開発等の国際展開を推進したか。 ＜評価指標＞ ・健康・医療戦略推進本部が中心となっていく横断的な検討に基づく、医療・介護等デジタルデータの利活用基盤の構築状況 ・臨床ビッグデータの集積・共有し、人工知能技術を活用することによっていく診療支援や新たな医薬品・医療技術等の創出に資する研究開発の取組状況 ・リバース TR やヒト由来の臨床検体の使用等の循環型研究開発の産学官連携の循環型研究開発の活性化への取組状況 ・将来の医薬品、医療機器及び医療技術等への新たな画期的シーズの育成	のアプローチの確立を目指し研究開発を推進した。 ・これまでの主な成果は以下の通りである。 8020 運動の達成者が増加する一方で、自立した口腔ケアが困難となり口腔疾患罹患率が高まるなど、多様化する高齢者の口腔内環境へ対応するべく、高齢者の口腔疾患についての研究を推進した。口腔ケア「困難事例」とされる、認知症の病態に応じた、口腔管理及び栄養ケアマネジメントに資する知見を収集し、エビデンスに基づく適切な歯科診療を含む口腔管理及び栄養ケアマネジメントに関するガイドラインを研究・開発を行った。 ■小児・周産期の疾患に関する研究 ・小児・周産期の疾患（成育疾患克服等総合研究事業）については、各年度において、推進中の研究開発課題について下記の通り委託研究開発契約を締結し、基礎からより実用化を目指した研究まで、幅広く実施した。 ・本事業においては、各年度において、公募テーマをそれぞれ設定し、下記の通りに採択を行った。年度を経るにつれ、応募数は、増加している。	貢献した。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。なお、平成 29 年度、平成 30 年度において予算額と決算額の差異が 29 年度 300 億円、30 年度 250 億円発生しているが、これは両年度共補正予算により医療研究革新基盤創成事業のための政府出資金が増加したためであり、同事業の業績については評価項目Ⅰ（1）⑦「政府出資を利用した産学官共同での医薬品・医療機器の研究開発の推進」に記載し、評価を行っている。 【糖尿病などの生活習慣病、脳卒中を含む循環器疾患、呼吸器系疾患、筋骨格系・結合組織疾患、泌尿器系疾患に係る研究】 ・循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業では、ビックデータを活用した心不全等の生活習慣病の予後・重症化予測法の開発を推進した。また、糖尿病に対する複数の診断マーカー・創薬シーズを同定するなど着実な成果を挙げている。 【高齢者の生活の質を大きく低下させる疾患に係る研究】 ・多剤処方の弊害について啓発活動や地域診断ツールを活用した「見える化」
---	--	--	---	---

																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																																													</
--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	----

下させる状態や疾患等に対し、患者や社会のニーズ、医療上及び経済上のニーズをも十分に意識しつつ、予防、診断、治療、生活の質の向上を目指す研究開発を推進する。さらに、高齢者に特有の疾患や老化・加齢メカニズムの解明・制御についての研究を推進する。	下させる状態や疾患等に対し、患者や社会のニーズ、医療上及び経済上のニーズをも十分に意識しつつ、予防、診断、治療、生活の質の向上を目指す研究開発を推進する。さらに、高齢者に特有の疾患や老化・加齢メカニズムの解明・制御についての研究を推進する。	開発への取組状況 ・高齢者に特有の疾患や老化・加齢メカニズムの解明・制御についての研究への取組状況 ＜モニタリング指標＞ ・応募件数及び採択件数 ・事業に参画している研究者延べ人数 ・左記の評価軸に係る取組状況	■女性に特有の健康課題に関する研究 ・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。 ・本事業においては、各年度において、公募テーマをそれぞれ設定し、下記の通りに採択を行った。年度を経るにつれ、応募数は、増加していた。採択にあたっては、いずれも書面評価、ヒアリングを行い、事前評価を行った。 <table><tr><td>H27</td><td>公 募 テーマ</td><td>（本予算）平成 27 年度一次公募 女性ホルモンに着目した疫学研究および介入研究を用いた予防法の開発、性差に基づく至適薬物療法の検討、女性の健康向上に資するウェアラブル医療機器等の開発、および機器利用による診療の質向上に関する研究、子宮内膜症の病態解明、および予防・治療法の開発、エストロゲン低下にともなう骨粗鬆症の病態解明と予防、治療に関する研究、若年女性のスポーツ障害の解析とその予防と治療、女性の出産後メタボリックシンドローム発症のリスク因子同定と予防研究 （本予算）平成 28 年度一次公募 若年女性のスポーツ障害予防のための介入研究、出産後メタボリックシンドローム発症のリスク同定と予防研究 （調整費による二次公募） 日本赤十字社の献血血液を利活用する研究の推進</td></tr><tr><td></td><td>応募数・採択数</td><td>応募数 42 件、採択数 14 課題</td></tr><tr><td>H28</td><td>公 募 テーマ</td><td>（本予算）平成 29 年度一次公募 発症頻度に性差のある疾患の機序解明と性差に基づく治療法の開発</td></tr><tr><td></td><td>応募数・採択数</td><td>応募数 7 件、採択数 1 課題</td></tr><tr><td>H29</td><td>公 募 テーマ</td><td>（本予算）平成 30 年度一次公募 子宮・卵巣等に関する疾病・健康課題や更年期疾患等への女性ホルモンの影響、若年女性の心身に視点を置いた研究開発、女性の</td></tr></table>	H27	公 募 テーマ	（本予算）平成 27 年度一次公募 女性ホルモンに着目した疫学研究および介入研究を用いた予防法の開発、性差に基づく至適薬物療法の検討、女性の健康向上に資するウェアラブル医療機器等の開発、および機器利用による診療の質向上に関する研究、子宮内膜症の病態解明、および予防・治療法の開発、エストロゲン低下にともなう骨粗鬆症の病態解明と予防、治療に関する研究、若年女性のスポーツ障害の解析とその予防と治療、女性の出産後メタボリックシンドローム発症のリスク因子同定と予防研究 （本予算）平成 28 年度一次公募 若年女性のスポーツ障害予防のための介入研究、出産後メタボリックシンドローム発症のリスク同定と予防研究 （調整費による二次公募） 日本赤十字社の献血血液を利活用する研究の推進		応募数・採択数	応募数 42 件、採択数 14 課題	H28	公 募 テーマ	（本予算）平成 29 年度一次公募 発症頻度に性差のある疾患の機序解明と性差に基づく治療法の開発		応募数・採択数	応募数 7 件、採択数 1 課題	H29	公 募 テーマ	（本予算）平成 30 年度一次公募 子宮・卵巣等に関する疾病・健康課題や更年期疾患等への女性ホルモンの影響、若年女性の心身に視点を置いた研究開発、女性の	いる。 ・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、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、また、H30 年度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では、多施設共同臨床研究・試験の促進を図るなど、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。 ・女性のライフコース疫学によって検討すべき健康事象とその規定因子とされる項目についての、ベースライン調査および定期的追跡調査の実施や、生殖関連要因および女性ホルモン等とがんや認知症との関連解析結果をまとめる複数の大規模多目的コホート研究なども実施した。また、近年技術革新の進んだウェアラブル機器により、女性の更年期特有の症状を把握する測定装置の開発、AI による女性の愁訴について適切な診断アルゴリズムを作成・実装に向けた研究など、女性に特有の健康課題について、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。		
H27	公 募 テーマ	（本予算）平成 27 年度一次公募 女性ホルモンに着目した疫学研究および介入研究を用いた予防法の開発、性差に基づく至適薬物療法の検討、女性の健康向上に資するウェアラブル医療機器等の開発、および機器利用による診療の質向上に関する研究、子宮内膜症の病態解明、および予防・治療法の開発、エストロゲン低下にともなう骨粗鬆症の病態解明と予防、治療に関する研究、若年女性のスポーツ障害の解析とその予防と治療、女性の出産後メタボリックシンドローム発症のリスク因子同定と予防研究 （本予算）平成 28 年度一次公募 若年女性のスポーツ障害予防のための介入研究、出産後メタボリックシンドローム発症のリスク同定と予防研究 （調整費による二次公募） 日本赤十字社の献血血液を利活用する研究の推進																			
	応募数・採択数	応募数 42 件、採択数 14 課題																			
H28	公 募 テーマ	（本予算）平成 29 年度一次公募 発症頻度に性差のある疾患の機序解明と性差に基づく治療法の開発																			
	応募数・採択数	応募数 7 件、採択数 1 課題																			
H29	公 募 テーマ	（本予算）平成 30 年度一次公募 子宮・卵巣等に関する疾病・健康課題や更年期疾患等への女性ホルモンの影響、若年女性の心身に視点を置いた研究開発、女性の																			

			<table><tr><td></td><td></td><td>健康に資することが期待される男女共通の疾患における年齢および生物学的性差を加味した診断・予防法の開発と治療法の開発</td></tr><tr><td></td><td>応募数・採択数</td><td>応募数 24 件、採択数 4 課題</td></tr><tr><td>H30</td><td>公 募 テーマ</td><td>(本予算) H31 年度一次公募 月経随伴症状の疾患発症機序の解明及び月経随伴症状に対する薬物療法、女性の更年期以降に顕在化する心身の健康課題の病態解明と予防、プレコンセプションの女性に着目した疾患予防、女性の心身の状況を総合的に考慮した診療に資するツールの開発</td></tr><tr><td></td><td>応募数・採択数</td><td>応募数 11 件、採択 4 課題</td></tr></table>			健康に資することが期待される男女共通の疾患における年齢および生物学的性差を加味した診断・予防法の開発と治療法の開発		応募数・採択数	応募数 24 件、採択数 4 課題	H30	公 募 テーマ	(本予算) H31 年度一次公募 月経随伴症状の疾患発症機序の解明及び月経随伴症状に対する薬物療法、女性の更年期以降に顕在化する心身の健康課題の病態解明と予防、プレコンセプションの女性に着目した疾患予防、女性の心身の状況を総合的に考慮した診療に資するツールの開発		応募数・採択数	応募数 11 件、採択 4 課題		
		健康に資することが期待される男女共通の疾患における年齢および生物学的性差を加味した診断・予防法の開発と治療法の開発															
	応募数・採択数	応募数 24 件、採択数 4 課題															
H30	公 募 テーマ	(本予算) H31 年度一次公募 月経随伴症状の疾患発症機序の解明及び月経随伴症状に対する薬物療法、女性の更年期以降に顕在化する心身の健康課題の病態解明と予防、プレコンセプションの女性に着目した疾患予防、女性の心身の状況を総合的に考慮した診療に資するツールの開発															
	応募数・採択数	応募数 11 件、採択 4 課題															
		・H30 年度は、複数の大規模多目的コホート研究において、生殖関連要因および女性ホルモン等とがんや認知症との関連解析結果をまとめた。 ・女性のライフコース疫学によって検討すべき健康事象とその規定因子とされる項目について、ベースライン調査および定期的追跡調査で前向きに調査を行った。 ・近年技術革新の進んだウェアラブル機器により、女性の更年期特有の症状を把握する測定装置の開発、AI による女性の愁訴について適切な診断アルゴリズムを作成・実装に向けて、研究を実施した。 ・成育疾患克服等総合研究事業および女性の健康の包括的支援実用化研究事業については、研究開発実施にあたり、PSPO のマネジメントによる PDCA サイクルをまわして着実に研究開発を推進した。具体的には、全ての研究開発課題の班会議に対し、PSPO 等が最低 1 名参加し、進捗管理、推進にあたった。															
		■免疫アレルギーに関する研究 ・免疫アレルギー疾患等実用化研究事業では、1 件の新規外用剤の薬事申請に至った。国際レビューアーの導入をした。 ・免疫アレルギー実用化研究事業においては、アトピー性皮膚炎及び関節リウマチを含む免疫疾患について、臨床情報と組織検体の標準化された収集方法及び組織学、トランスクリプトーム・エピゲノム等オミクス解析を統合した解析パイプラインの構築するとともに、国際標準化を視野に入れた mRNA の発現ダイナミクスに基づく新たな mRNA-seq データベースシステムを構築した。 ・免疫アレルギー疾患実用化研究事業では、【リバース TR やヒト由来の臨床検体の使用等による循環型研究開発の活性化】：①慢	【免疫アレルギーに関する研究】 ・2019 年 1 月に「免疫アレルギー戦略 10 か年戦略」(以下、「戦略」)が発出され、本研究領域におけるわが国の目指すべき目標とその実現のための方略が明らかにされた。 【慢性の痛みを呈する疾患に関する研究】 ・痛みは主観的な感覚であるため、標準的な評価法や診断法、治療法が確立されておらず、診療体制も十分に整っていない現状があるが、難治性の慢性疼痛に悩む国民は多く、早急な痛み対策が求められている。本事業では、病態の解明等の基礎的な研究を進め、評価法等の開発につなげる研究を実施し、慢性の痛みに悩む患者の QOL 向上に繋がる開発研究を推進した。今後も適切な支援を継続することが期待される。 【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】 ・ALS 患者等を含む障害者のコミュニケーション支援機器が製品モデルとして完成するなど、障害全般に関するリハビリテーション等の適切な支援を提														

			性アレルギー性気道炎症の繊維化メカニズムについて、新規病態を解明し、新たなドラッグリポジショニングのためのシーズを得た。②疾患ゲノム情報と組織特異的マイクロRNA発現情報を統合するインシリコ・スクリーニング手法を開発し、関節リウマチの発症に係わる新規バイオマーカー候補miRNAを同定した。③アトピー性皮膚炎の発症に係わる皮膚バリア機能異常の関与について、複数の課題により研究班連携の下、前向き臨床研究及びアトピー性皮膚炎患者由来検体による微生物叢解析、オミクス解析を複合的に推進した。 ・【画期的シーズの育成に向けた革新的先端研究開発の推進】：①ファーストインヒューマンとなる新しい作用機序を持つ止痒外用剤の開発を促進した。②COPD合併喘息に対する、新たな治療戦略に基づく吸入剤の開発を促進した。③食物アレルギーに対する独創的コンセプトに基づく新規経口ワクチン開発を促進した。 ・【生物資源等の戦略的・体系的な整備と研究開発等の国際展開の推進】：アトピー性皮膚炎、及び、リウマチ性疾患について、臨床情報と組織検体の標準化された収集方法及び、組織学、トランスクリプトーム・エピゲノム等オミクス解析を統合した解析パイプラインを構築するとともに、国際標準化を視野に入れた、mRNAの発現ダイナミクスに基づく新たなmRNA-seqデータベースシステムを構築した。 ・免疫アレルギー疾患等実用化研究事業（移植医療技術開発研究分野）では、2018年度は、採択課題（計10課題）に関して、PS、POにもサイトビジット／班会議／市民公開講座に可能な限り参加を頂き、直接研究者と意見交換を実施した。 ・免疫アレルギー疾患等実用化研究事業（移植医療技術開発研究分野）において、臓器移植、造血幹細胞移植後の生命予後に大きくかわる、移植片対宿主病（GVHD）や免疫抑制療法に関連する研究開発を推進した。 ■慢性の痛みを呈する疾患に関する研究 ・慢性の痛み解明研究事業では、2018年度は、採択課題（計9課題）に関して、PS、POにもサイトビジット／班会議／市民公開講座に可能な限り参加を頂き、直接研究者と意見交換を実施した。 ・慢性の痛み解明研究事業については、推進中の9件の研究開発課題について、9件の委託研究開発契約を締結した。 ・痛みは主観的な感覚であるため、標準的な評価法や診断法、治療法が確立されておらず、診療体制も十分に整っていない現状があるが、難治性の慢性疼痛に悩む国民は多く、早急な痛み対策が求められている。本事業では、病態の解明等の基礎的な研究を進め、評価法等の開発につなげる研究を実施し、慢性の痛み悩む患者	供することが期待される。 また、末梢前庭障害に伴うめまい・平衡障害に対する新規治療機器が完成し医師主導知見に進んでおり、障害を招く疾病等についての病因・病態の解明、予防、診断、治療法、リハビリテーション法等の先進的・実践的な取り組みが行なわれていると評価できる。 【老化メカニズムの解明・制御プロジェクト】 ・老化メカニズムの解明・制御を目指す研究からヒトの老化制御への応用に繋がる研究開発を包括的に推進するための「研究開発拠点」と「研究推進・支援拠点」を採択した。 研究開始後、「研究推進・支援拠点」では、早急に老化研究の技術・解析支援体制を整え、78件の解析を実施し、「研究開発拠点」の研究を推進した。 ・PSPOを中心としたマネジメントを行い、適切にPDCAサイクルをまわした。PSPO会議や拠点構想会議を開催し、戦略的な事業運営を行った。革新的先端研究開発支援事業「全ライフコースを対象とした個体の機能低下機構の解明」領域と合同リトリートや合同シンポジウムを開催し、事業外との有機的な連携を促進するとともに、	
--	--	--	---	--	--

			のQOL向上に繋がる開発研究を推進した。 ・具体的には、慢性疼痛の新たな治療法に繋がる脳関門通過型核酸医薬の開発を進め、成果の創出を加速させるべく、調整費による追加配賦を行い、脳関門を通過し、疼痛に関連する後根神経節の細胞にまでデリバリーされるあらたな核酸医薬の開発を進め、標的遺伝子が適切に抑制していたことを確認するなど、慢性の痛みの治療に向けた取り組みを推進した。また、臨床の現場における精神神経免疫学的側面と慢性の痛みの病態を結びつけ、心理社会的ストレスの影響を解明する開発研究を推進した。 ■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 ・身体・知的等障害、神経・筋疾患、感覚器障害の分野において、障害全般に関するリハビリテーション等の適切な支援を提供するための研究開発、障害を招く疾病等についての病因・病態の解明、予防、診断、治療法、リハビリテーション法等の先進的・実践的な研究に取り組むと同時に、障害児・者及びその家族の生活支援、社会参加等を目指した研究を推進した ・これまでの主な成果は以下の通りである。 ➤ 進行した ALS 患者等を含む障害者のコミュニケーション支援機器の実用化臨床研究を終了し、製品モデルとして完成した。 ➤ 末梢前庭障害に伴うめまい・平衡障害に対する新規治療機器が完成し、医療機器開発推進研究事業に移行して、2019 年度から薬機法承認を目指す医師主導治験を開始した。 ➤ 障害者対策総合研究開発事業では、ブレイン・マシン・インターフェイス(BMI)を用いた生活環境制御・コミュニケーション支援機器(B-assist)を開発・実証評価研究を実施し、移動支援のためのシステム及び機器を実現。 ■老化メカニズムの解明・制御プロジェクト ・平成29年度に AMED の新規事業として、老化遅延による健康寿命の延長を目的とし、老化メカニズムの解明・制御を目指す研究からヒトの老化制御への応用に繋がる研究開発を包括的に推進し、日本の老化研究の核となる拠点を形成するため、「老化メカニズムの解明・制御プロジェクト」を立ち上げ、「研究開発拠点」と「研究推進・支援拠点」の2テーマについて、公募した。 ・公募の結果、「研究開発拠点」を2課題、「研究推進・支援拠点」を1課題が採択され、平成29年10月から研究を開始した。 <table><tr><td>H29</td><td>公募テーマ</td><td>①研究開発拠点 老化に関わる学際的な研究を集結し、老化メカニズムの解明・制御を目指す研究から</td></tr></table>	H29	公募テーマ	①研究開発拠点 老化に関わる学際的な研究を集結し、老化メカニズムの解明・制御を目指す研究から	両事業の進捗や成果について、広く企業や一般の方へ周知し、社会への還元を図った。 ＜今後の課題＞ 日本の老化関連研究機関との連携促進のための意見交換等を行い、次期プロジェクトのあり方や拠点構想について今後さらに検討を進める必要がある。 【エイズ及び肝炎対策に資する研究】 ・平成26年度策定の健康・医療戦略及び医療分野研究開発推進計画及びPSPO 体制によりに、適正、効果的かつ効率的な事業運営・管理を実施し、エイズ及び肝炎対策資する研究では、基礎研究から出口に向けた研究までを一貫して支援した。その結果、エイズ対策に資する研究では、ウイルス増殖過程の解析を基に新規抗ウイルスターゲットが同定された。HIV ワクチンの安全性・免疫原性の確認や新規抗 HIV 薬候補化合物の企業導出を図っているように、HIV 感染症の予防、治療に期待ができる顕著な成果をあげた。肝炎対策に資する研究においては、種々のアプローチを用いた基盤研究から、肝線維化機構や肝発がん機構などの解明、治療薬の開発に繋	
H29	公募テーマ	①研究開発拠点 老化に関わる学際的な研究を集結し、老化メカニズムの解明・制御を目指す研究から						

		ヒトの老化制御への応用に繋がる研究開発を実施
	応募数・採択数	応募数件 17件、採択数 2件
	公募テーマ	②研究推進・支援拠点 本事業が機動的かつ円滑に運営されるため、拠点間の連携体制の構築や、老化研究の技術支援や研究支援等の共通基盤を提供し研究開発拠点の活動を支援
	応募数・採択数	応募数件 2件、採択数 1件

【委託研究開発契約（課題）数】

	H29	H30
研究開発拠点	2	2
研究推進・支援拠点	1	1

【事業運営に関する会議】

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

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

がる成果を得た。HBV ワクチン開発に関しても、より有効なワクチン開発に繋がる成果をえている。また、強力な抗 HBV 薬候補化合物を見いだし企業導出を図っており、新規作用機序を有する抗 HBV 化合物については企業に導出した。DAA 治療が普及する中、HCV については薬剤の適正使用、持続感染に C 型肝炎悪化のメカニズムや病態の解明が進んだ。

＜今後の課題＞

- エイズ対策に資する研究においては、研究開発費が年々削減されているので、ウイルス自身の研究を推進しつつも、HIV 感染の予防及び根治療法の研究開発や HIV 感染症治療中に発生する病態の解明など世の中からのニーズに合わせた課題設定が重要となる。また、他分野からの研究者の参入促進を含めた HIV 研究者の育成に注力する必要がある。
- 肝炎対策に資する研究においては、特に B 型肝炎の根治を目指した抗ウイルス薬及び治療法に関する基盤研究から出口に向けた研究まで引き続き一貫して、推進する必要がある。また、ウイルス性でない肝炎（NAFLD/NASH）が増え、その予防・診断・治療に対する社会的ニ－

			し、「研究開発拠点」の研究を推進した。 ・平成30年度は、サイトビジット（3回）を実施し、各拠点の研究進捗状況や解析支援状況を把握し、助言・修正等を行う等、PDCA サイクルを活用した PSPO のマネジメントを実施し、研究開発もしくは研究推進・支援を着実に推進した。さらに研究開発の加速のため、評価の高い課題について、研究費の追加配賦を行った。また、PSPO 会議（3回）や拠点構想会議（4回）を開催し、戦略的な事業運営や支援拠点の体制強化、また事業内外の有機的な連携促進、今後の事業や老化関連研究の方向性等について、議論・討議を行った。前年度に引き続き、リトリートを開催し、各拠点の進捗報告や海外の動向等の情報共有、意見交換等を行い、拠点間連携を深め、事業全体の研究促進を図った。 ・平成30年度は、「研究推進・支援拠点」において、平成29年度に加齢マウスの供給を含め、8種類の解析支援を48件実施し、研究開発拠点の研究を促進に貢献した。「研究開発拠点」においては、「研究推進・支援拠点」の解析支援や拠点内連携、拠点間連携等による専門分野横断的な共同研究等を開始し、新たな老化メカニズムの解明や制御機構の解明について研究が促進され、その研究成果が着実に出てきた。特筆すべき研究成果として、肝臓傷害時に脳からの自律神経による信号が緊急的な肝臓再生を促進する仕組みの解明（個体・臓器老化研究拠点・東北大学）や血管の防御機構の解明（個体・臓器老化研究拠点・大阪大学）、またオートファジー制御による寿命延長機構の解明（老化機構・制御研究拠点・大阪大学）等、著名な論文を発表し、新たな老化メカニズムの解明・制御機構を見出し、健康寿命延伸に向けた応用展開が期待される成果が得られた。その他、拠点リトリートを開催し、情報交換や若手研究者による討論を行うなど、拠点内連携や研究開発の促進を図った。 ・平成30年度 第2回の調整費により、研究推進・支援拠点における寿命解析の死因解析データを高精度化するため、給電式テレメーターシステムを非接触型電波式充電装置に改良し、長期体内埋込型で自動測定可能なシステムの研究開発を実施した。 ・その他、他事業との連携として、革新的先端研究開発支援事業「全ライフコースを対象とした個体の機能低下機構の解明」領域と合同リトリート（平成30年9月5～6日）を開催し、各事業の研究について情報を共有し、意見交換等を行い、老化関連研究の連携や共同研究の促進を図った。さらに、合同シンポジウム（平成31年3月5日）を開催し、両事業の進捗や成果について、広く企業や一般の方へ周知し、社会への還元を図った。その他、理化学研究所との連携推進のため、科学技術ハブの活用や共同研究の推進、クロスアポイントメントによる人材の交流等について、意見交換を行った。	ズも高まっているので、独立した一つの領域として公募するか十分な検討が必要である。肝硬変に関しては、線維化を改善させる根本的な治療はなく、病態改善につながる新たな治療法の開発が必要である。さらに、肝炎研究の展開を図るため、肝臓学研究者と他分野の研究者の協力体制の推進、若手研究者の育成に繋がる課題設定を行う必要がある。 【肝炎対策に資する研究】 ・研究・開発を推進できたことは評価できる 【ICT・人工知能（AI）基盤構築に関する研究】 ・異なる6学会をとりまとめ、学会主導の研究を推進し、更に学会共通課題の解決、各学会のDB間の情報連携及びデータ集積システムの構築に際して、成果の最大化を図る取組を行ったことで、各学会のDB間の情報連携が可能となるような仕様が定まったことについて評価できる。更に、集積されたデータを効率的・有効的に活用できるよう次世代基盤構築に関わる研究やAI開発のための基盤整備に関する研究開発を行ったことについても評価できる。 ・PHR 利活用モデルの構築やAIを活用した保健指導	
--	--	--	--	--	--

				■エイズ対策に資する研究 感染症実用化事業（エイズ対策実用化研究事業）では以下の成果を達成した。 ・多剤耐性 HIV 株にも奏功し、中枢移行性がよく HIV 感染者の中枢障害の治療に期待がもてる HIV プロテアーゼ阻害剤 GRL142/KU-241 を合成した。GRL142/KU-241 の薬効・安全性をサルを用いて確認し、企業導出を図っている。さらに、バックアップとして薬物代謝酵素の阻害が軽微であり薬物相互作用を回避できる可能性のある GRL142/KU-241 の誘導体も合成した。 ・HIV Subtype B の約 70%を中和する単クローン抗体 1C10 をカイコで大量調製し、カニクイザルで安全性を確認した。また、SHIV を感染させたカニクイザルを用いて、1C10 のウイルス増殖抑制効果を確認し、臨床試験に向けて大きく前進した。 ・センダイウイルスベクターを用いた HIV ワクチンの国際共同臨床試験第 I 相で、ワクチンの安全性・免疫原性を示す最終結果が論文発表された。（J. Nyombayire et al., J. Infect. Dis. 2017, <u>215</u>, 95.） ・HIV Env 三量体改変抗原発現センダイウイルスベクター及び多様な Env 三量体改変抗原搭載非感染ウイルス粒子を作製した。これらを併用してサルに接種した結果、交差性の高い抗体を誘導し、HIV 感染防御ワクチンの開発に繋がる成果を得た。 ・全国を網羅する調査ネットワークで得られた HIV 薬剤耐性変異データ、HIV 遺伝子配列および臨床情報と HIV 感染症治療薬の血中濃度を統合して解析することにより、海外からの流入も含めた本邦の HIV 感染動向や、疫学上、臨床上の課題が明らかになりつつある。 ・HIV が体内で効率よく感染を拡げるための「細胞—細胞間感染」の分子メカニズムを解明し、これに関わる宿主蛋白質を発見した。「細胞—細胞間感染」は、細胞どうしが密に存在するリンパ節などの組織でみられ、抗ウイルス薬を投与しても相対的な薬剤濃度が低下し薬の効果を弱める一因となっており、HIV の潜伏化や慢性感染の維持にも関与している。したがって、「細胞—細胞間感染」の分子メカニズムの解明は、HIV の体内での拡がりや潜伏化機構の解明につながるだけでなく、新たな治療法開発への応用に寄与するものと期待された。（K. Miyakawa et al., Nature Commun. 2017, <u>8</u>, 14259） ・CRISPR/Cas9 とアデノ随伴ウイルスベクターを用いて、生後の血友病 B マウス（第 IX 因子欠損）の異常遺伝子の修復に成功した。本成果を CiCLE 事業に橋渡しし、血友病 B に対する遺伝子治療用製品の研究開発に繋げた。（T. Ohmori et al., Sci Rep. 2017, <u>7</u>,	システムの研究開発、IoT を活用した大規模長期介入研究を推進、標準的医療情報収集システム開発・活用研究に着手したことは評価できる。 【統合医療に関する研究】 ・より質の高いエビデンスを創出するために、臨床研究における組入れ目標累積例数の進捗管理を強化したこと、事前評価に際して生物統計家や統合医療の専門家の関与を強めたこと、PS・PO のサイトビジット等を継続して実施したことは評価できる。 ・プロトコール作成課題を経て、平成 30 年度に採択された課題においては、プロトコール論文が掲載されたことは、評価できる。 ・平成 29、30 年度に採択されたプロトコール作成課題が平成 31 年度臨床研究の実施課題に採択されたことは評価出来る。 【ACT-M、A-STEP】 ・薬事承認が得られた課題、製造販売承認申請に至った課題がある。また、合計 24 課題で臨床試験や治験に至った。 【リバーstransレーションリサーチ等による循環型研究開発】 ・研究・開発を推進できたこ	
--	--	--	--	--	---	--

			4159.) ■肝炎対策に資する研究 感染症実用化事業（肝炎等克服実用化研究事業）では以下の成果を達成した。 ・試験管内で、薬剤耐性 B 型肝炎ウイルスに著効示し、薬剤耐性 B 型肝炎ウイルス感染キメラマウスにおいても強力な抗ウイルス効果を示す化合物を合成した。本化合物は、現在臨床で用いられているエンテカビルよりも安全性が高く、さらに肝細胞内での安定性が高いことから 1 週間に 1 度の服薬レジメンが可能と考えられた。これらの結果を基に企業導出を図っている。 ・ラット及びマウスの成熟肝細胞から、肝臓を再構築する肝前駆細胞へのリプログラミングおよび安定培養に成功した。培養に成功したラット由来の肝前駆細胞を、肝障害をもつマウスの肝臓に移植すると高い再生能力を示し、75-90%という極めて高い効率でホスト肝臓を再構築した。このような部分的リプログラミングというアプローチは、再生医療分野における新たな方向性を示した。(T. Katsuda et al., Cell Stem Cell 2016, <u>20</u>, 270.) ・様々な C 型肝炎治療薬を用いた C 型肝炎ウイルスの感染培養実験を実施し、得られた実験データをもとに数理モデルと呼ばれる数学的な方程式で解析し、コンピュータシミュレーションを援用する事で網羅的に薬剤組み合わせの特徴を解析し、現在治療に用いられている複数の薬剤の組み合わせによるウイルス抑制効果の強さを判定する手法を開発した。(Y. Koizumi et al., PNAS 2017, <u>114</u>, 1922) ・抗ウイルス療法により HCV を排除した 943 名の患者（肝発癌例 vs. 非発癌例）の血液検体・臨床情報を全国の共同研究施設より収集し、ゲノムワイド関連解析法を用いて全遺伝子にわたって約 60 万カ所の塩基配列の違いを解析した。その結果、4 番染色体に位置し、<i>TLL1</i> 遺伝子内に存在する一塩基多型 (SNP: single nucleotide polymorphism) が肝発癌に強く関連することを見出した。(K. Matsuura et al., Gastroenterology 2017, <u>152</u>, 1383.) ・改変したエイズウイルスの逆転写酵素に B 型肝炎治療薬エンテカビルを結合させ、その立体構造を解析し、エンテカビルが逆転写酵素に結合する仕組みと薬剤耐性が生まれる仕組みを解明した。(Y. Yasutake et al., Sci Rep. 2018, <u>8</u>, 1.) ・特定の HLA-DR-DQ 分子による HBs 抗原の認識（ワクチン低反応）および BTN2 分子による T 細胞や B 細胞の活性制御（ワクチン高反応）が HBV ワクチンの効果に重要な役割を果たすことが明らかとなった。(N. Nishida et al., Hepatology, 2018, <u>68</u>, 848.) ・全国 65 の小児施設に登録された、1986 年から 2015 年に出生し研究条件を満たした 348 例を、出生年ごとに 3 群に分け、診断時年齢、最終受診時診断、治療、感染経路、ゲノタイプなどを	とは評価できる		
--	--	--	--	---------	--	--

			比較検討し、肝生検が実施されていた 147 例に関しては、肝組織像を詳細に検討した。その結果、近年の傾向は、より低年齢で診断され、母子感染が 99%以上になり、ゲノタイプは 2 型が最多になっていた。また、欧米では 1～2%に認められる肝硬変は国内では見られず、大部分の症例は肝組織で線維化がない、または軽度で、肝がんはなかった。(T. Mizuochi et al., J. Gastroentology, 2018, <u>53</u>, 419.) ・ C 型肝炎ウイルスが持続感染し、病状が悪化するにつれて腸内フローラにレンサ球菌属のストレプトコッカス・サリバリウスなどが異常に増え、腸管で尿素を分解してアンモニアを生産することを明らかにした。このことから、アンモニア生産菌を増殖させないことが肝硬変などで見られる高アンモニア血症の予防や治療につながる可能性を示した。(T. Inoue et al., Clinical Infectious Diseases, 2018, <u>67</u>, 869.) ・ B 型肝炎ウイルス(HBV)の中でもアラスカで多く認められる遺伝子型のゲノタイプ F1b に特異的なウイルス変異 (A2051C) が HBV 感染粒子の産生を促し、若年肝がんの発症に関連していることを明らかにした。これらの結果は、B 型肝炎の発癌メカニズムや病態の解明、新薬の開発に道を開く可能性を示した。(S. Hayashi et al., Hepatology, 2018, <u>69</u>, 19.) ・ B 型肝炎ウイルスの複製に重要なウイルスタンパク HBx と宿主タンパク DDB1 との結合を阻害する薬剤の効率的なスクリーニング系を構築し、スクリーニングの結果ニタゾキサニドを同定した。ニタゾキサニドは、初代ヒト肝細胞を用いた B 型肝炎ウイルス感染系において、ウイルス RNA、ウイルスタンパク、ウイルス DNA、cccDNA 量を低下させたことから、新規の B 型肝炎治療薬となる可能性が示された。(K. Sekiba et al., Cell Mol Gastroenterol Hepatol. 2019, <u>7</u>, 297.) ・ 間葉系幹細胞はマクロファージを M1 (炎症性) から M2 (抗炎症性) へと表現型を変化させるのに関わり、肝線維化改善を促進させていることを見いだした。また、マウス肝臓をイメージング出来る技術を用いて、投与マクロファージが壊死肝細胞を貪食するライブ画像をとらえることに成功した。この成果は、間葉系幹細胞を用いた再生治療開発の発展に資すると考えられる。(Y. Watanabe et al., Stem Cells Transl Med. 2019, <u>8</u>, 271.) ・ マウス体内で網羅的にがん遺伝子を探索出来る新技術を用いてスクリーニングを行い、脂肪性肝疾患からの肝がん発症に Hippo (ヒッポ) 経路の構成因子 Sav1 (サブワン) が重要な役割を果たすことを見いだした。このように、Hippo 経路は、肝がん治療の新規標的となる可能性を示した。(T. Kodama et al., Proc Natl Acad Sci U S A. 2018, <u>115</u>, E10417.) ・ B 型肝炎ウイルス(HBV)の複製過程に形成される cccDNA の前駆体 DNA に特徴的な“フラップ構造”に着目し、フラップ構造を切断するタンパク質 FEN1 の作用について、HBV 複製モデル実験や試験管内で cccDNA 形成を再現する新たな研究手法を用いて検討した。その結果、いずれの手法においても FEN1 の機能低下に伴い HBV cccDNA 量の減少が認められた。前駆体 DNA に対する FEN1 の作用機序を解析することにより、cccDNA 形成を抑制す			
--	--	--	---	--	--	--

			る新規の抗 HBV 薬開発につながると考えられる。(K. Kitamura et al., PLoS Pathog. 2018, <u>14</u>, e1007124.) ・B 型肝炎ウイルス (HBV) のカプシドは、ゲノム複製にも関与する HBV コアタンパク質 (HBc) が会合して二量体となり、さらにこの二量体が自己集合して形成される。スクリーニングにより、HBc の二量体形成とゲノムの複製の双方を阻害するヒット化合物を見いだし、そのうちの 7 化合物を国内大手企業に導出した。導出先にて、構造活性相関研究や構造化学的検討、<i>in vitro</i>、<i>in vivo</i> での薬効評価等が実施される。 「C型肝炎ウイルスに起因する肝硬変に対する抗線維化治療薬の開発に関する研究」を産学連携医療イノベーション創出推進プログラムに橋渡しし、Phase I を完結させた。その成果を基に企業導出、CiCLE 事業での採択へと繋げた。 ■統合医療に関する研究 【平成 27 年度】 ・平成 27 年度は、厚生労働省より移管された課題（計 10 課題）に関して、PS、PO による進捗管理を実施した。 ・その後、2 次公募による事前評価を行い、3 課題を追加採択し、計 13 課題に関して同様に PS、PO による進捗管理を実施した。 【平成 28 年度】 ・平成 28 年度は、採択課題（計 13 課題）に関して、班会議に可能な限り参加を頂き、直接研究者と意見交換を実施した。 ・評価委員より、統合医療の専門家を科学技術調査員として委嘱し、評価時に科学技術調査員の査読コメントを活用出来る評価体制の充実化の希望が出た為、委嘱を実施した。 ・評価委員からの、統合医療領域の臨床研究について提案内容をより充実するため、プロトコール作成からの人材育成が必要との意見より、生物統計家を科学技術調査員として委嘱し、プロトコール作成課題を平成 29 年度の新規公募課題とすることとした。 【平成 29 年度】 ・平成 29 年度は、採択課題（計 15 課題）に関して、PS、PO にもサイトビジット／班会議／市民公開講座に可能な限り参加を頂き、直接研究者と意見交換を実施した。 ・平成 29 年度より新たに始めた機能性食品、鍼灸、アロマに関するプロトコールを作成する課題（3 課題）では、科学技術調査員のサポートを受けながら、毎月の進捗管理および進捗会議（計 3 回）を実施し、倫理審査委員会への申請資料一式の作成を行った。 ・臨床研究に関する採択課題（9 課題）を対象とし、より進捗管理を強化するため、科学技術調査員に臨床試験のプロトコールについて評価項目やサンプルサイズ等のコメントを頂き、より質の高い臨床研究実施に向けたアドバイスを PSPO と共有した上で、研究者へフィードバックした。			
--	--	--	---	--	--	--

			・平成 30 年度公募に際しては、更なる科学的根拠収集のため、評価委員および科学技術調査員の見直しを行い、追加での生物統計家（2 名）および統合医療の専門家（3 名）を科学技術調査員として委嘱し、評価に活用した。 【平成 30 年度】 ・平成 30 年度は、採択課題（計 15 課題）に関して、PS、PO にもサイトビジット／班会議／公開講演会に可能な限り参加を頂き、直接研究者と意見交換を実施した。 ・「統合医療」に関するプロトコール作成研究（4 課題）では、科学技術調査員のサポートを受けながら、毎月の進捗管理および進捗会議（計 3 回）を実施し、倫理審査委員会への申請資料一式の作成を行った。 ・「統合医療」に関するプロトコール作成研究のうち、痛みをテーマとする課題では、慢性の痛み解明研究事業の PSPO に班会議に参画して頂き、より実臨床に即したプロトコールの作成が出来た。 ・臨床研究に関する採択課題（8 課題）を対象とし、研究進展についての進捗管理を強化するため、組入れ目標累積例数を毎月報告頂き、より質の高い臨床研究実施に向けたアドバイスを PSPO と共有した上で、研究者へフィードバックを行った。 ・平成 31 年度公募に際しては、更なる科学的根拠収集のため、科学技術調査員の見直しを行い、統合医療の専門家（3 名）とヘルスコミュニケーションの専門家（1 名）を科学技術調査員として委嘱し、評価に活用した。 ■ICT・人工知能（AI）基盤構築に関する研究 【臨床研究等 ICT 基盤構築・人工知能実装研究事業】 ・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。			
--	--	--	--	--	--	--

			【パーソナル・ヘルス・レコード（PHR）利活用研究事業】 ・本事業は平成 28 年度より開始し今年度が事業最終年度である。研究期間を通じてした 4 つのライフステージ（妊娠・出産・子育て、疾病・介護予防、生活習慣病、医療・介護連携）ごとに PHR 利活用モデルを構築し、今後の社会実装に向けた実証研究を実施した。また、異なる PHR システム間で横断的にデータを管理・活用できる PHR プラットフォームの研究を行った。 【AI を活用した保健指導システム研究推進事業】 ・本事業は平成 29 年度より開始し、地域における健診・レセプトデータ及びエビデンスデータをもとに、適切な保健指導施策の提案を行うシステムや適切な保健指導を立案できるシステム構築とその有効性の検証を行い、機能の改善と拡充を図った。 【IoT 等活用生活習慣病行動変容研究事業】 ・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】 ・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。 ■産学連携医療イノベーション創出推進プログラム（ACT・M） ・ACT・M は平成 27 年度から、ACT・MS は平成 28 年度から、毎年度公募を一回ずつ行い、これまで計 69 課題（ACT・M 33 課題、ACT・MS 36 課題）を採択し、産学連携による医療イノベーション創出に向けて研究開発を推進。研究開発の進捗状況を把握し助言を行うため、PO を中心としたサイトビジット等を実施している。 ・平成 27 年度に採択された「情動系を調節するオピオイドδ受容体作動薬の開発」（代表機関：日本ケミファ（株））の研究開発課題に関して、その継続研究が AMED「医療研究開発革新基盤創成事業（CiCLE）：第 2 回公募」にて「オピオイドδ受容体活性化を機序とする画期的情動調節薬の開発」として採択され、本格的に企業主導の開発ステージに進んだ。他、CiCLE の第 3 回公募			
--	--	--	--	--	--	--

			においても、ACT-M 平成 28 年度採択課題の継続研究が採択され、計 2 件の橋渡しが実現した。 - 平成 28 年度採択課題「機能性タンパク質シルクエラスチンを用いた新規医療材料の開発および臨床研究」において、平成 30 年 2 月より医師主導治験を開始した。京都大学と三洋化成工業（株）は、シルクエラスチンの水溶液が 37℃でゲル化するという特徴を利用して、創傷治癒材としての開発研究を行い、難治性皮膚潰瘍の治癒を促進する材料であることを動物実験で確認した。これまで、難治性皮膚潰瘍の治療には、適度な湿潤環境を維持、細菌感染などの増悪因子を助長させない治療が求められ、そのためには日々の処置が欠かせず負担が大きかったが、本課題の実用化により、日常の負担軽減が見込まれる。 - 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。 ■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を実施するとともに、リーフレットにて成果の普及に努めた。 （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。 - 他にも、平成 30 年度に製造販売承認申請が提出された課題がある。 「コメ型経口腸管下痢症ワクチンの前臨床試験」（阪大微生物病研究会）は、アステラス製薬に導出し、海外にて第 I 相試験を実施している。 - 以上の 3 課題の他に、本プログラムではこれまで計 21 課題において、ASTEP の支援中、もしくは支援後に臨床試験や治験を実施している。			
--	--	--	---	--	--	--

			■8K 等高精細映像データ利活用研究事業 ・8K 内視鏡システムの医療上の有用性の検証及び高精細映像データの利活用による医療の質の向上等に関する研究について、平成29 年度に研究開発課題を 1 件採択し、平成 30 年度末までに試作品を用いて 25 件のヒト臨床試験を実施した。 ・また、8K 等高精細映像データ利活用研究事業／高精細映像データの収集・解析を通じて内視鏡診療支援を行う医用人工知能システムの研究について、平成 29 年度に研究開発課題を 1 件採択し、支援課題に関する成果として、平成 30 年度末までに腫瘍性病変検出感度 85%を達成した。 ・また、8K 等高精細映像データ利活用研究事業／高精細映像データの収集・解析を通じて内視鏡診療支援を行う医用人工知能システムの研究では、人工知能（AI）によりポリープ・癌をリアルタイムで検知し、医師による病変の発見から治療方針提案、さらに再発予測を含む大腸内視鏡検査支援システムを開発。開発した AI をテストしたところ、平成 30 年度は腫瘍性病変の検出感度 85%を達成した。 ■リバーストランスレーショナルリサーチ等による循環型研究開発 ・平成 30 年度から「再生医療実現拠点ネットワークプログラム（個別技術開発課題）」のなかで、リバース・トレーショナル・リサーチに係る公募を実施している。（平成 30 年度は 1 課題を採択。）																																																			
			■革新的先端研究開発支援事業（AMED-CREST、PRIME、LEAP） ・本事業においては、各年度において公募テーマをそれぞれ設定し、下記の通りに採択を行った。採択にあたっては、いずれも書面評価、ヒアリングを行い、事前評価を行った。 【領域・課題】 <table><tr><th colspan="2">AMED-CREST・PRIME</th><th>H27</th><th>H28</th><th>H29</th><th>H30</th></tr><tr><td rowspan="4">新規</td><td>領域数</td><td>2</td><td>1</td><td>1</td><td>1</td></tr><tr><td>応募課題数</td><td>458</td><td>439</td><td>584</td><td>503</td></tr><tr><td>採択課題数</td><td>36</td><td>35</td><td>49</td><td>37</td></tr><tr><td>契約数</td><td>63</td><td>74</td><td>49</td><td>38</td></tr><tr><td rowspan="3">既存</td><td>領域数</td><td>7</td><td>7</td><td>7</td><td>7</td></tr><tr><td>継続課題数</td><td>84</td><td>112</td><td>121</td><td>153</td></tr><tr><td>契約数</td><td>232</td><td>243</td><td>273</td><td>279</td></tr></table> <table><tr><th>LEAP</th><th>H27</th><th>H28</th><th>H29</th><th>H30</th></tr></table>	AMED-CREST・PRIME		H27	H28	H29	H30	新規	領域数	2	1	1	1	応募課題数	458	439	584	503	採択課題数	36	35	49	37	契約数	63	74	49	38	既存	領域数	7	7	7	7	継続課題数	84	112	121	153	契約数	232	243	273	279	LEAP	H27	H28	H29	H30	【革新的先端研究開発支援事業（AMED-CREST、PRIME、LEAP）】 ・JST CREST の移管課題について運用を開始するとともに、AMED の本事業としての運営方式を設定し、事業運営サイクルを安定化させ、さらに、評価や領域会議等の実施にかかる部分の効率化を図るとともに、研究開発マネジメントを強化した。その結果、Nature や Science 等の掲載などトップクラスの基礎的研究成果を続々		
AMED-CREST・PRIME		H27	H28	H29	H30																																																	
新規	領域数	2	1	1	1																																																	
	応募課題数	458	439	584	503																																																	
	採択課題数	36	35	49	37																																																	
	契約数	63	74	49	38																																																	
既存	領域数	7	7	7	7																																																	
	継続課題数	84	112	121	153																																																	
	契約数	232	243	273	279																																																	
LEAP	H27	H28	H29	H30																																																		

新規	採択課題数	2	1	1	1
既存	継続課題数	-	2	3	4
	契約数	-	8	13	14

【運営】

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

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

※1：機構担当者による持ち回りにより議論を実施。

- ・機構発足に伴い、科学技術振興機構（JST）の戦略的創造研究推進事業 CREST において実施してきた医療分野に資する研究開発として 7 領域 84 課題について移管を受け、JST での実施にかかる膨大な管理データを引き継ぎ、JST 時代からの既存領域の運営を開始した。また、平成 26 年度に JST が実施した規研究開発領域の設定にかかる調査の内容を引継ぎ、平成 27 年度当初に AMED 職員によるインタビュー等の調査を行い、2 つの新規研究開発領域を設定した。
- ・戦略的創造研究推進事業では CREST、さがけとそれぞれにおいて領域マネジメントを行っていたものを、本事業ではユニットタイプ（AMED-CREST）、ソロタイプ（PRIME）の両者一体型の領域マネジメントとした形での領域の運営方式を設定した。機構発足から平成 28 年度までは事業運営サイクルを安定化させることに注力したが、そもそもの事業規模が大きいこともあり、かなりのエフォートを要した。そこで、平成 29 年度以降は評価や領域会議等の実施にかかる部分の効率化を図るとともに、研究開発マネジメントを強化した。その結果、Nature や Science 等の

と創出し、革新的な医療につながることを期待されるシーズも多数創出されている。

- ・国際水準での評価の実施を目的とし、AMED-CREST 新領域の選考において、海外レビューアによる書面審査を他事業にさがけて導入した。また、画期的シーズの創出・育成をより一層進めるため、LEAP の選考方法において、自薦を中心とした他事業の臨床・応用研究者とのマッチングの仕組みを導入した。さらに、次期中長期計画の中核的テーマである「ヒトのライフコース」に関する新規研究開発領域を検討した。選考方法の改革にかかる取り組みや次期計画を意識した領域の検討により、国際競争性や将来展開の観点がより深まることとなり、有力なポテンシャルを持つ課題の採択に繋がると期待される。
- ・バイオバンクの利用促進や倫理申請の支援を目的として、新たな PO を指名することを検討し、さらに、AMED-CREST, PRIME の成果を将来的にヒトへの展開に繋げるため、ヒト検体を用いた疾患絞込み等を支援する制度として、FORCE を新たに開始した。これらの取り組みにより、より優れた研究成果の創出に繋がると期

			掲載などトップクラスの基礎的研究成果を続々と創出している。 ・平成 27 年度から平成 30 年度の各年度において、翌年度の新規研究開発領域の設定に向けた調査を行った。特に、平成 30 年度においては、次期中長期計画の中核的テーマの一つとして検討されている「ヒトのライフコースを意識したアプローチ」については、戦略ワークショップ、連携シンポジウムを開催し、新規研究開発領域の設定に向けた検討を実施するとともに、成育疾患克服等総合研究事業および女性の健康の包括的支援実用化研究事業との連携を詳細に検討し、医療応用を可能とするための長期的視点に立った基礎的研究の戦略について検討した。 ・国際水準での評価の実施を目的とし、国際レビューア（外国の研究機関に所属する外国人又は日本人の専門家その他これに準ずる者）の導入準備を平成 29 年度に行った。本件は、AMED 全体への導入に先駆けた試行として、レビューアの探索から依頼までの一連の仕組みを構築し、平成 30 年度の AMED-CREST 新規領域において、提案書の一部を英語化し、海外レビューア 19 名による書面審査を実施した。本件は、今後の AMED 全体への導入へ繋がる成果・モデルケースとなった。 ・インキュベートタイプ（LEAP）においては、画期的シーズの創出・育成をより一層進めるため、企業導出に向けた活動促進と他事業との連携を図るべく、平成 29 年度から平成 30 年度にかけて選考方法の改革を検討した。具体的には、これまでの候補課題の条件を AMED-CREST、PRIME の領域総括（PS）の推薦に加えて自薦も可能とした事前登録制とし、AMED-CREST・PRIME 等の研究者と AMED 他事業の応用以降の研究者とのマッチングフェーズを設定することで、より効果的な成果の導出に向けた研究開発提案を行うための仕組みとした。また、平成 31 年度の選考として、平成 30 年度に前述の提案プロセスを始動した。 ・平成 30 年度において、AMED-CREST, PRIME の研究開発代表者に対し、ヒト検体サンプルへのニーズやバイオバンク利用についてアンケート調査を行った。その結果、ヒト検体サンプルへのニーズは高いが、バイオバンク利用に関する情報不足や倫理申請の困難さが課題として挙げられたため、バイオバンク利用や倫理申請の支援を目的とした PO を指名することを検討した。平成 31 年度から、この支援の開始を予定している。 ・AMED-CREST, PRIME から得られた優れた基礎研究成果を他の疾患別事業等に展開することを促進するため、ヒト検体サンプルを用いた対象疾患の絞り込みや分析技術の汎用性検証を行うための新たな取り組みとして、平成 29 年度～平成 30 年度にかけて「ステップタイプ（FORCE）」を設計した。平成 30 年度より提案を募集し、平成 31 年度に新規採択を行う予定である。	待できる。 【メディカルアーツの創成に関する研究】 ・研究・開発を推進できたことは評価できる		
--	--	--	--	--	--	--

■メディカルアーツに関する取り組み					
・総合的な取り組みとして、組織内で協同し、メディカルアーツの開発及び普及に関する研究へのファンディング等に係るデータを事業横断的に集積した。具体的には、事業横断的に、メディカルアーツに関連する一部の課題について、担当の部局等の特定、関連する事業、課題管理番号等を集積した。					
	平成27年度	平成28年度	平成29年度	平成30年度	合計
応募件数及び採択件数	911 件及び150 件	1,219 件及び281 件	1,247 件及び203 件	1,409 件及び251 件	4,786 件及び885 件
事業に参画している研究者延べ人数	1,439 人	3,938 人	4,051 人	6,155 人	15,583 人
PMDA への薬事戦略相談を行った研究開発課題数	3 件	38 件	17 件	19 件	77 件
機動的な研究推進のため年度内に契約変更を実施した課題数	131 件	228 件	309 件	184 件	852 件

4. その他参考情報
特になし。

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

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

3. 中長期目標、中長期計画、年度計画、主な評価軸、業務実績等、年度評価に係る自己評価及び主務大臣による評価									
	中長期目標	中長期計画	主な評価軸（評価の視点）、指標等	法人の主な実績等・自己評価		主務大臣による評価			
				主な業務実績等	自己評価	(見込評価)		(期間実績評価)	
						評定		評定	
	AMED に求められる機能（研究開発のマネジメント（データベースの構築を含む。）、研究不正の防止、臨床研究及び治験データマネジメント、実用化へ向けた支援、研究開発の基盤整備に対する支援、国際戦略の推進、政府出資を活用した産学官共同での医薬品・医療機器の研究開発の促進等）を果たすため、適切な組織・人員体制を整備することとする。	AMED に求められる機能（研究開発のマネジメント（データベースの構築を含む。）、研究不正の防止、臨床研究及び治験データマネジメント、実用化へ向けた支援、研究開発の基盤整備に対する支援、国際戦略の推進、政府出資を活用した産学官共同での医薬品・医療機器の研究開発の促進等）を果たすため、適切な組織・人員体制を整備することとする。	＜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。 ＜評価指標＞ ・組織・人員体制の整備状況。	＜主要な業務実績＞ ■組織・人員体制の整備 ・組織は求められる機能を果たすため、適宜組織変更を実施した。 ・定常的な組織として事業部門 7 部、事業支援部門 2 部、管理部門に 3 部 1 室、理事長、理事の下に 12 部 1 室として運用した。 ・退職等による人員の不足、新規事業に必要な人員は、随時、公募等により産・学・官の各分野から事業を推進するためにふさわしい人材を採用し配置した。 ■機動性・効率性が確保できる柔軟な組織・人員体制の確保 ・組織は戦略推進部を軸に他 6 事業部との縦横連携による全体最適化を図る体制を維持し、政策や研究開発動向の変化等に応じて機動的に対応し、各事業間の緊密な連携による効率性を確保するため、各部室の人員は産・学・官それぞれのノウハウ等を持つ出身者や経験者等の人数バランスを考慮して配置している。 ・機構の運営、事業の推進に必要な人材を長期・安定的に確保し、人員体制の基盤を構築するため「プロパー職員」制度を策定し、平成 29 年度から運用を開始した。平成 30 年 4 月 1 日付で 6 名、平成	＜評定と根拠＞ 評定：B 平成 29 年度において、AMED が果たすべき機能を十分に発揮するための組織・人員体制上の課題を全体的に整理した上で、創薬戦略強化のため AMED 全体の創薬シーズの横断的評価や戦略立案を行う「創薬戦略部」を整備するとともに（平成 29 年 7 月）、創薬支援ネットワーク機能の強化等のため民間リソースを活用して「創薬支援推進ユニット」を整備し、ICT、AI の基盤整備を担う「ICT 基盤研究グループ」を整備して、今後の ICT、AI の基盤整備を専ら行う部署として AMED にお				

	など、当該業務を推進するために適切な人員を配置する。 関連する政策や医療分野の研究開発動向の変化、業務の進捗状況に応じ機動性・効率性が確保できるような柔軟な組織・人員体制を整備する。		31 年 4 月 1 日付で 8 名を採用した。 ・平成 25 年 4 月の改正労働契約法の施行により、無期転換ルールが制度化されたことに伴い、平成 30 年 9 月に AMED としての無期転換制度を策定した。	ける組織的な受皿を構築し（平成 29 年 7 月）、AMS（AMED 研究開発マネジメントシステム）の充実によるエビデンスベースの事業企画等を目指して「基盤研究事業部」、「情報分析企画室」を整備し（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」を増員して整備し（平成 29 年 4 月）、事業部門の横割り企画・調整機能の強化のため「事業統括室」を整備し（平成 30 年 2 月）、AMED の職員体制の強化のため、プロパー職員制度を導入するとともに、プロジェクトマネジメントに一定の経験、知識、能力等により従事することを理事長が認定する AMED・PO（AMED プログラムオフィサー）の運営を本格化し、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。以上から目標を達成していると認められる。 【組織・人員体制の整備】 ・組織は求められる機能を果たすため、12 部 1 室として運用した。欠員が生じた際には、公募等により、各分野から経験と知識を有した人材を採用して配置した。 【機動性・効率性が確保でき	
--	---	--	--	--	--

					る柔軟な組織・人員体制の確保】 ・戦略推進部を軸に他 6 事業部との縦横連携による全体最適化を図れる体制を維持するため、産・学・官から経験者を人数バランスを考慮し人員配置を行っている。		
	特に、AMED におけるマネジメントにおいて重要な役割を果たす PD、PS、PO 等、高度の専門性が必要とされる者については、産学官からの優れた人材の登用を積極的に行うこととする。また、利益相反の防止や透明性の確保にも配慮しつつ、外部人材を登用するものとする。	また、特に、PD、PS、PO 等、高度の専門性が必要とされる者については、産学官からの優れた人材の登用を積極的に行うこととする。また、利益相反の防止や透明性の確保にも配慮しつつ、外部人材を登用する。	＜評価軸＞ ・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。 ・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。 ＜評価指標＞ ・産学官からの優れた人材の積極的登用状況 ・利益相反の防止や透明性の確保にも配慮した、外部人材の登用状況 ＜モニタリング指標＞ ・PD/PS/PO の委嘱件数	■PD、PS、PO 等の産学官からの登用 ・プログラム・ディレクター（PD）、プログラム・スーパーバイザー（PS）、プログラム・オフィサー（PO）は、機構に求められる機能である優れた基礎研究の成果を臨床研究・産業化に繋げる一貫した研究開発マネジメントの中心的な役割として、研究分野に関して優れた学識経験や研究開発の実績等を有し、研究開発課題の評価及び業務運営に関して見識を有する専門家を産・学・官の各分野から厳正に人選し、利益相反を十分に配慮して、外部より委嘱して登用した。 ■利益相反・透明性に配慮した外部人材の登用 ・利益相反の防止及び透明性の確保に係る対応として、「研究開発課題評価に関する規則」において利益相反に係る基準を規定するとともに、PD・PS・PO をホームページで公表した。また、個別研究課題の選定のための評価を行う事前評価委員会の委員については、採択課題の公表時に合わせてホームページで公表するように努めた。 ＜平成 29 年度主務大臣による評価を踏まえた課題＞ ■指摘事項 ・委託研究開発契約書の紛失事案の発生について、事案発生後講じられた管理体制が再発防止策として有効に機能するか今後も注視する必要がある。 【対応状況】 ・再発防止のために講じた、契約書保管状況のチェックや保管キャビネットの鍵貸出等の管理体制については、有効に機能しており、以降紛失事例は発生していない。	【PD、PS、PO 等の産学官からの登用等】 ・PD、PS、PO については、研究開発課題の評価及び業務運営に関して見識を有する専門家を産・学・官の各分野から源泉に人選し、利益相反に十分に配慮して外部より委嘱し登用している。 【利益相反・透明性に配慮した外部人材の登用 ・個別課題選定の事前評価委員についても、利益相反に係る基準に基づき外部より委嘱、登用し、採択課題の公表に合わせてホームページでの公表に努めている。		

特になし。

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

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

	中長期目標	中長期計画	主な評価指標	法人の主な実績等・自己評価		主務大臣による評価			
						(見込評価)		(期間実績評価)	
				主な業務実績等	自己評価	評価		評価	
	AMED で行っている事業については厳格な評価を行い、不断の業務改善を行うこととする。評価に当たっては、外部の専門家・有識者を活用するなど適切な体制を構築することとする。また、評価結果をその後の事業改善にフィードバックするなど、PDCA サイクルを徹底する。	研究事業については、外部有識者からなる評価委員会による評価を行うとともに、AMED の行う事業について、中長期目標に示された目標の達成に向けて年度ごとの計画を適切に定めるとともに、中長期計画及び年度計画の評価を行い評価結果を公表する。また、評価結果は、次年度以降の業務改善につなげる PDCA サイクルを徹底することにより効率的・効果的な業務を行う。	＜評価軸＞ ・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。 ・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。 ＜評価指標＞ ・AMED で行っている事業についての評価の実施状況 ・PDCA サイクルの実施状況 ＜モニタリング指標＞	＜主要な業務実績＞ ■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 30 年度までに 426 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した。 ・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。 ・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。 ■年度計画に沿った進捗状況の把握と評価 ・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・管理するため「業務と予算に関する会議」として体制を構築し、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	＜評価と根拠＞ 評価：B 目標・計画に基づき、年度計画に沿った進捗の把握と評価、研究成果に係る中間・事後評価の実施、医療分野研究開発速度の最大化に資する進捗管理、研究評価・課題管理の改善に向けた検討に基づく取組を着実に実施し、着実な業務運営がなされている。以上から目標を達成していると認められる。 【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による評価を実施し、その結果を研究者にフ				

			・ 中間・事後評価委員会の実施回数	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、全ての部門の部長クラスからの業務の進捗状況の報告、それを基にした意見交換を行うとともに、必要に応じて理事長から業務改善等の指示を行った。これに対して、全ての部門は対応方針を作成し、次の同会議において対応状況を報告することにより業務の進捗管理を行った。対応方針は、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、フォローアップを効率的・効果的に実施できるものにした。 ・ 毎年度の業務実績の評価は自己評価委員会及び外部評価委員会、研究・経営評議会で実施し、評価結果を HP で公表した。 <table><tr><td>中間・事後評価委員会の実施回数</td><td>平成 27 年度</td><td>平成 28 年度</td><td>平成 29 年度</td><td>平成 30 年度</td></tr><tr><td>(回数)</td><td>66 回</td><td>109 回</td><td>123 回</td><td>128 回</td></tr></table>	中間・事後評価委員会の実施回数	平成 27 年度	平成 28 年度	平成 29 年度	平成 30 年度	(回数)	66 回	109 回	123 回	128 回	ードバックするとともに、追加配賦の課題選択や翌年度の研究費の配分、研究課題や事業の改善に活用している。 ・ 中間・事後評価の実施に当たっては、書面審査とヒアリング審査を適宜使い分けることによる、効率的な評価の実施が進められている。 【年度計画に沿った進捗状況の把握】 ・ 年度計画に沿った進捗の把握と評価を着実に実施したことは評価できる。		
中間・事後評価委員会の実施回数	平成 27 年度	平成 28 年度	平成 29 年度	平成 30 年度													
(回数)	66 回	109 回	123 回	128 回													
事業部門各部 / 課	一方、研究者の研究活動の円滑化にも十分配慮し、医療研究開発速度の最大化に資する進捗管理を実現する。	＜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。 ＜評価指標＞ ・ 医療研究開発の進捗管理状況	■医療研究開発速度の最大化に資する進捗管理 ・ 平成 29 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平成 30 年度はその着実な活用を進めるとともに、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した。 ・ 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、適切に課題管理を行った。 ・ 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。	【医療研究開発速度の最大化に資する進捗管理】 ・ 医療分野研究開発速度の最大化に資する進捗管理、研究評価・課題管理の改善に向けた検討に基づく取組を着実に実施し、着実な業務運営がなされている。													

4. その他参考情報
特になし。

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

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

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

--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--

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

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

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

4. その他参考情報
特になし。

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

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

	中長期目標	中長期計画	主な評価指標	法人の主な実績等・自己評価		主務大臣による評価			
				主な業務実績等	自己評価	(見込評価)		(期間実績評価)	
						評価		評価	
	費用対効果、専門性等の観点から、AMED 自ら実施すべき業務、外部の専門機関の活用が適当と考えられる業務を精査し、外部の専門機関の活用が適当と考えられる業務については、外部委託を活用するものとする。	費用対効果、専門性等の観点から、自ら実施すべき業務と外部の専門機関の活用が適当な業務を精査し、外部の専門機関を活用することにより高品質で低コストのサービスが入手できるものについてアウトソーシングを積極的に活用する。	＜評価軸＞ ・外部の専門機関の活用が適当と考えられる業務を精査し、外部の専門機関の活用が適当と考えられる業務については、外部委託を活用したか。 ＜評価指標＞ ・外部委託の活用状況	＜主要な業務実績＞ ■外部委託の活用 ・第一期中長期計画期間を通じ、費用対効果、専門性等の観点から業務を精査し、外部能力の活用が適当と考えられる研究開発支援のための調査研究、研究開発課題採択や評価、事業運営や研究者支援、経理等内部管理業務等各般の業務について、外部委託を推進した。その結果、平成 30 年度は 626 件と平成 27 年度比約 36%増を達成した（平成 27 年度：460 件、平成 28 年度：597 件、平成 29 年度は 546 件）。具体的な取組み事例は次のとおり。 ➤ 研究開発支援のための調査研究 ・平成 27 年度再生医療等の産業化促進に向けた細胞入手のための課題調査以降、各年度の調査及び管理支援業務を外部委託した。 ・医療機器開発支援のあり方を検討するため、平成 30 年 11 月に「医療機器開発の重点化に関する検討委員会」を設置して検討を進めた。その際、専門機関に外部委託を行い注目すべきグローバルトレンド、疾病別課題、医療のステークホルダーの課題等の調査・分析を行	＜評価と根拠＞ 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。 【外部委託の活用】 ・費用対効果、専門性等の観点から業務を精査し、外部能力の活用が適当と考えられる業務について、外部委託を推進したことは評価できる。 ＜今後の課題＞ ・今後は、従来外部委託を行っていない分野や、AI・ICT 等新たな技術を活用した外部委託の可能性について検討を進める。				

			った。 ・認知症対策官民イノベーション実証基盤整備事業の実施に当たり、「超早期予防」、「生活支援・社会受容」のための新製品・サービス等に関連したニーズ及びシーズの実態を把握するとともに、今後適切な製品・サービスを社会実装するための基盤整備に必要な要素について外部委託による調査を行った。また、今後の認知症研究開発のため、国内各地域の認知症コホートに対し、外部委託により詳細な調査項目など研究内容の実態を把握するための調査を行った。 ・未診断疾患イニシアチブ (IRUD) の一環として、未診断疾患患者の診療状況の実態を把握するため、国立、私立大学附属病院の医師を対象とした調査を、調査会社に外部委託した。 ・米国における医療研究開発動向を調査するため、米国の情勢に精通する現地の専門業者に外部委託した。 ➤ 研究課題採択、評価 ・平成 28 年度に評価委員の委嘱に係る業務の一部を集約・一元化し、その業務を派遣職員が担う体制を構築した。 ・事前・中間・事後評価の各課題評価にオンライン評価システムを利用し、外部委託により研究課題の評価・集計、評価委員会の準備に係る各種資料作成等を実施した。 ・国際レビューアの導入にあたり、各事業部における負担軽減のため、国際レビューア候補者の依頼手続きや必要な情報の収集・連絡調整等の業務について、平成 30 年 9 月から外部委託した。 ・レビューアを導入する取組に際して、平成 29 年度はレビューアの探索、候補者への打診、内諾、平成 30 年度には内諾済みレビューアへの査読依頼から、19 名のレビューアによる書類査読の実施、謝金支払までの支援業務について、外部委託した。 ・評価委員会がスケジュール上、複数重なった際に受付・誘導等業務を外部委託した。 ・医療研究開発革新基盤創成事業では、採択から契約の間に、応募機関の財務状況を確認す			
--	--	--	---	--	--	--

				るため外部調査機関による財務状況の確認を行い、シーズとなる知的財産の特許性判断の参考資料とするための先行技術調査を調査機関に外部委託した。また、契約のための条件調整に際して法律的問題について随時弁護士に相談できる体制を構築した。 ➤ 事業運営や研究者支援 ・平成 29 年度からオンラインによる班会議システムを導入し、班会議の日程調整の効率化や報告事項の共有化を図った。 ・製薬企業出身者、弁理士など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「AMED 知財リエゾン」を全国に配置した。また、知財リエゾンと「AMED ぷらっと®」を一体的に外部委託することにより、研究開始早期からマッチング機会の提供まで、一貫した支援を実施した。 ・年間約 70 件におよぶ各種評価会やシンポジウム、領域会議の会議運営を、平成 28 年度から外部委託した。 ・業務効率化の一環として、領域運営においての定型的・補助的業務を外部委託した。 ・再生医療研究交流会、再生医療公開シンポジウムの実施にあたり、情報セキュリティを考慮した申込み・受付システム構築、プログラム・抄録集の編集作業、YouTube 配信等の業務のほか、会場での保安業務を外部委託した。 ・次世代がん医療創生研究事業と革新的がん医療実用化研究事業における各事業の研究開発課題の進捗管理を補助し、開発方針等について適切な助言や支援を行うサポート機関を外部委託した。 ・成果報告会運営に関して、情報セキュリティを考慮した研究開発代表との資料送受信や申込み Web 構築、プログラム・抄録集の編集作業等の業務を外部委託した。 ・研究成果の海外展開を行うためのアフリカでのシンポジウムやニュージーランドでのワークショップを外部委託した。また、1 ヶ月で 6 件の国際ワークショップを開催するにあたり、開催準備のノウハウや報告書作成のた			
--	--	--	--	--	--	--	--

				めの専門知識を有する専門業者に、ワークショップ開催支援を外部委託した。 ・橋渡し研究戦略的推進プログラムの成果活用支援における拠点のシーズのポートフォリオ戦略の策定、企業リエゾンの支援、国際展開の支援を外部委託した。 ・医療研究開発革新基盤創成事業では、採択課題の管理や推進支援に必要となる専門的な情報の収集を目的として調査を外注した。また、課題管理の効率化・省力化のために事務局支援機能のアウトソーシングを行った。 ➤ 内部管理業務 ・経理伝票処理に関し外部委託した。また。新財務会計システムの運用開始に向けて、仕様書作成にも関与したコンサルティング会社に開発支援業務を外部委託した。 ・専門的見地からの見直しが不可欠であること等から、業務合理化及び IT 化のための業務分析業務の一部を外部委託した。公募型プロジェクト業務フローの可視化、業務プロセスでの改善項目の洗い出し、IT 化を抽出した。 ・専門性の観点からホームページの大幅な情報拡充に向けてのコンテンツ作成・掲載業務の支援を外部委託すると共にホームページのリニューアルを行うため、コンテンツマネジメントシステム等の導入・開発を外部委託した。 ・内部統制システム構築に、専門的知見を有する機関に外部委託を行い、業務記述書、業務フロー図、リスクアセスメントシートを作成した。			
--	--	--	--	---	--	--	--

4. その他参考情報
特になし。

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

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

	中長期目標	中長期計画	主な評価指標	法人の主な実績等・自己評価		主務大臣による評価			
				主な業務実績等	自己評価	(見込評価)		(期間実績評価)	
						評価		評価	
	運営費交付金を充当して行う事業については、新規に追加されるもの、拡充分等は除外した上で、一般管理費（人件費、公租公課等の所要額計上を必要とする経費及び特殊要因により増減する経費を除く。）は毎年度平均で2%以上、事業費は毎年度平均で1%以上の効率化を達成する。	運営費交付金を充当して行う事業については、新規に追加されるもの、拡充分等は除外した上で、一般管理費（人件費、公租公課等の所要額計上を必要とする経費及び特殊要因により増減する経費を除く。）は毎年度平均で2%以上、事業費は毎年度平均で1%以上の効率化を達成する。	＜評価軸＞ ・運営費交付金を充当して行う事業については、新規に追加されるもの、拡充分等は除外した上で、一般管理費（人件費、公租公課等の所要額計上を必要とする経費及び特殊要因により増減する経費を除く。）は毎年度平均で2%以上、事業費は毎年度平均で1%以上の効率化を達成したか。	＜主要な業務実績＞ ■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、平成 30 年度の一般管理費（人件費、公租公課等の所要額計上を必要とする経費及び特殊要因により増減する経費を除く）の実績は、平成 29 年度予算額に対し 3.0%減少し、本中長期目標期間の毎年度平均で 2%以上の効率化を達成する見込みである。 ・同じく平成 30 年度の事業費の実績は、平成 29 年度予算額に対し 3.1%減少し、本中長期目標期間の毎年度平均で 1%以上の効率化を達成する見込みである。 ※平成 27 年 4 月設立法人であるところ、業務の効率化指標については、立ち上げから業務が標準化に移行する平成 29 年度予算額との比較で、平成 30 年度より算出している	＜評価と根拠＞ 評価：B 目標・計画に基づき、運営費交付金を充当して行う事業については、一般管理費及び事業費とも効率的な執行に努め、着実な経費の削減を実施し、増加する業務に対応し業務の一層の効率化及び給与制度、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。				

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

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

4. その他参考情報
特になし。

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

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

	中長期目標	中長期計画	主な評価指標	法人の主な実績等・自己評価		主務大臣による評価			
				主な業務実績等	自己評価	(見込評価)		(期間実績評価)	
						評価		評価	
	電子化の促進等により事務手続きの簡素化・迅速化を図るとともに、AMED の制度利用者の利便性の向上に努める	事務処理手続きの簡素化・迅速化を図るため、各業務のシステム化を検討し、AMED の制度利用者の利便性を図るとともに電子化によるペーパーレスを推進する。	＜評価軸＞ ・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。 ＜評価指標＞ ・電子化の促進等により事務手続きの簡素化・迅速化及び機構の制度利用者の利便性の状況。	＜主要な業務実績＞ ■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 【平成 27 年度】 ・事務処理手続きの簡素化・迅速化を図るため、文書管理システム、人事給与システム及び財務会計システムの各業務システムを導入した。 ・職員からの要望の強かった大容量ファイル転送システムを導入した。 ・タブレット端末を利用したペーパーレス会議システムを導入した。 【平成 28 年度】 ・文書管理システムにおいて規程に基づく秘密文書の適切な管理を可能とする機能追加及び人事給与システムにおける勤怠情報や旅費申請の入力方法の改善を行った。 ・例規システムの運用を開始し、例規・法令の検索・参照に加え、例規の制定・改正作業が効率化した。 ・入札情報等を提供する公告等掲示システムの運用を開始し、応札者への利便性を確保しつつ、契約業務の効率化を実現した。 ・国民に対するサービス向上を図るため、情報公開シ	＜評価と根拠＞ 評価：B AMED 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 ぶ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。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。AMED 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 2020 年 1 月に利用を開始する次期 AMED 基盤情報システムを調達し、システム構築と運用に関する契約締結に至った。以上から目標を達成していると認められる。 【事務処理手続きの簡素化・迅速化				

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

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

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

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

4. その他参考情報
特になし。

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

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

	中長期目標	中長期計画	主な評価指標	法人の主な実績等・自己評価		主務大臣による評価			
				主な業務実績等	自己評価	（見込評価）		（期間実績評価）	
						評価		評価	
	各年度期末における運営費交付金債務に関し、その発生要因等を厳格に分析し、減少に向けた努力を行うこととする。	運営費交付金の効率的活用の観点から、各年度期末における運営費交付金債務に関し、その発生要因等を分析し、減少に向けた努力を行う。	＜評価軸＞ ・各年度期末における運営費交付金債務に関し、その発生要因等を厳格に分析し、減少に向けた努力を行ったか。 ＜評価指標＞ ・各年度期末における運営費交付金債務の状況。	■各年度期末における運営費交付金債務の状況 ・運営費交付金予算の執行について、実績の把握等を定期的に行うとともに、適切な執行に向けた取組を着実に実施した結果、事業の進捗に伴い運営費交付金債務残高は減少し、中長期目標期間中の執行が見込まれている。 ・H30 年度については、4 月より新財務会計システムの運用を開始して、支出額、執行率、前月との比較等が一目でわかるような予算執行状況確認資料を毎月作成し、幹部に報告するとともに全部課室に対して周知を行い、予算の計画的な執行を促進した。 ・H30 年 11～12 月には当年度 2 回目となる予算執行状況ヒアリングを実施し、年度内執行計画の進捗状況及び運営費交付金債務の状況を把握するとともに、予算の過不足の調整を行い、事業の円滑な実施に寄与した。 ・これらの取組の結果、H30 年度末の運営費交付金債務残高は前年度末と比べて 110 百万円減の 731 百万円となり、事業の進捗に伴い着実に運営費交付金債務が減少している。	＜評価と根拠＞ 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、事業の進捗に伴い運営費交付金債務残高は減少し、中長期目標期間中の執行が見込まれている。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。 【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、事業の進捗に伴い運営費				

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

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

4. その他参考情報
特になし。

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

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

	中長期目標	中長期計画	主な評価指標	法人の主な実績等・自己評価		主務大臣による評価													
				主な業務実績等	自己評価	(見込評価)		(期間実績評価)											
						評価		評価											
	各年度期末における運営費交付金債務に関し、その発生要因等を厳格に分析し、減少に向けた努力を行うこととする。	短期借入金の限度額は 312 億円とする。短期借入が想定される事態としては、運営費交付金等の受け入れに遅延が生じた場合、緊急性の高い不測の事態が生じた場合等である。	＜評価軸＞ ・ 短期借入金の手当は適当か。 ＜評価指標＞ ・ 短期借入金の状況 ＜モニタリング指標＞ ・ 短期借入金額実績	＜主要な業務実績＞ ・ 短期借入の実績なし。 ＜短期借入金額実績の推移＞ <table><tr><td></td><td>H27 年 度</td><td>H28 年 度</td><td>H29 年 度</td><td>H30 年 度</td></tr><tr><td>短期借入 金額実績</td><td>0 円</td><td>0 円</td><td>0 円</td><td>0 円</td></tr></table>		H27 年 度	H28 年 度	H29 年 度	H30 年 度	短期借入 金額実績	0 円	0 円	0 円	0 円	＜評価と根拠＞ 評価：－ ・ 実績なし。				
	H27 年 度	H28 年 度	H29 年 度	H30 年 度															
短期借入 金額実績	0 円	0 円	0 円	0 円															

4. その他参考情報
特になし。

1. 当事務及び事業に関する基本情報			
Ⅲ―(3)	(3)不要財産又は不要財産となることが見込まれる財産がある場合には、当該財産の処分に関する計画		
当該項目の重要度、困難度	－	関連する政策評価・行政事業レビュー	－

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

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

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

4. その他参考情報
特になし。

1. 当事務及び事業に関する基本情報			
Ⅲ―(4)	(4)Ⅲ(3)に規定する財産以外の重要な財産を譲渡し、又は担保に供しようとするときは、その計画		
当該項目の重要度、困難度	－	関連する政策評価・行政事業レビュー	－

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

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

4. その他参考情報
－

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

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

	中長期目標	中長期計画	主な評価指標	法人の主な実績等・自己評価		主務大臣による評価			
				主な業務実績等	自己評価	(見込評価)		(期間実績評価)	
						評価		評価	
	各年度期末における運営費交付金債務に関し、その発生要因等を厳格に分析し、減少に向けた努力を行うこととする。	AMED の実施する業務の充実、職員教育、業務の情報化、広報の充実にあてる。	＜評価軸＞ ・AMED の実施する業務の充実、職員教育、業務の情報化、広報の充実にあてたか。 ＜評価指標＞ ・剰余金の使途の状況	＜主要な業務実績＞ 【剰余金の使途】 ・損益計算において利益が生じたときは、その利益のうち主務大臣により経営努力として認定される分は目的積立金として「剰余金の使途」に充てることができる。AMED 設立以来、目的積立金は生じておらず、実績なし。	＜評価と根拠＞ 評価：－ ・実績なし				

4. その他参考情報	
特になし。	

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

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

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

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

4. その他参考情報
特になし。

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

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

	中長期目標	中長期計画	主な評価指標	法人の主な実績等・自己評価		主務大臣の評価			
				主な業務実績等	自己評価	（見込評価）		（期間実績評価）	
						評価		評価	
	AMEDが医療分野の研究開発等の中核的な役割を果たしていくためには、独立行政法人制度や国の制度等の法令等様々なルールを遵守し適切に行動していく必要がある。このため、コンプライアンス体制について、必要な規程を整備するとともに、定期的な取組状況の点検や職員の意識浸透状況の検証を行い、適宜必要な見直しを行う。	定期的な取組状況の点検や職員の意識浸透状況の検証を行うために、コンプライアンス体制に関する規定を整備するとともに職員に対して定期的に研修を行うことにより職員の意識浸透と機構の適切な運用を図る。	＜評価軸＞ ・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。 ＜評価指標＞ ・コンプライアンスの取組状況 ＜モニタリング指標＞ ・コンプライアンス研修の参加者数	＜主要な業務実績＞ ■コンプライアンス体制の構築 ・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。 ・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。平成 27 年度から 30 年度までに毎年度開催し、講義形式では計 9 回（延べ人数 633 名）、e ラーニング形式では、延べ人数 522 名が受講した。 ・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。	＜評価と根拠＞ 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。 【コンプライアンス体制の構築】 ・コンプライアンス意識の醸成のため職員研修を実施するなど、コンプライアンスの確保に向けた取組が実施されている。				

4. その他参考情報

特になし。

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

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

	中長期目標	中長期計画	主な評価指標	法人の主な実績等・自己評価		主務大臣による評価			
				主な業務実績等	自己評価	（見込評価）		（期間実績評価）	
						評価		評価	
	AMED の適正な業務運営及び国民からの信頼を確保するため、適切かつ積極的に情報の公開を行うとともに、個人情報の適切な保護を図る取組を推進する。具体的には、独立行政法人等の保有する情報の公開に関する法律（平成 13 年法律第 140 号）及び個人情報の保護に関する法律（平成 15 年法律第 57 号）に基づき、適切に対応するとともに、職員への周知徹底を行う。	AMED の業務運営及び事業の透明化確保と国民に対するサービスの向上を図る観点から、情報公開法令に基づき、法人文書の開示を適切に行うとともに、保有する個人情報について個人情報保護法及び個人情報保護規則に基づき適切な管理を行う。	＜評価軸＞ ・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。 ＜評価指標＞ ・AMED の情報の公開及び個人情報の適切な保護を図る取組の推進状況	＜主要な業務実績＞ ■情報公開 【開示請求】 ・機構のホームページ（HP）に法人文書及び個人情報の開示請求手順について掲載を行っており、平成 27 年度から 30 年度までに全 13 件の法人文書開示請求がなされ、独立行政法人等の保有する情報の公開に関する法律等に基づき適切に対応した。平成 27 年度から 30 年度までに開示決定に関する審査請求、訴訟はなかった。 【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 529	＜評価と根拠＞ 評価：B 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。個人情報の保護については、個人情報保護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。				

				月、AMED ホームページのリニューアルを行った。 ■個人情報の保護 ・平成 27 年度から 30 年度までに保有個人情報の不適正管理事案（漏えい、滅失、き損）が発生しないよう、役職員に個人情報保護規則等の周知徹底を図るための個人情報保護研修を行った。 ・平成 30 年度には、新たに、海外事務所が所在する国・地域における個人情報保護法令を研修の内容に追加した。			
--	--	--	--	---	--	--	--

4. その他参考情報
特になし。

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

2. 主要な経年データ									
	評価対象となる指標	達成目標	基準値等 (前中長期目標期間 最終年度値等)	27 年度	28 年度	29 年度	30 年度	31 年度	(参考情報) 当該年度までの累積値等、必要な情報
	情報セキュリティ研修実施回数（研修参加者人数）	年1回以上		2 回（449 名）	2 回（479 名）	2 回（527 名）	5 回（292 名）※ ※ これまでの e-ラーニングではなく、集合研修により実施		

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

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

4. その他参考情報
特になし。

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

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

	中長期目標	中長期計画	主な評価指標	法人の主な実績等・自己評価		主務大臣による評価			
				主な業務実績等	自己評価	(見込評価)		(期間実績評価)	
						評価		評価	
	個人評価においては、適切な目標を設定し、その達成状況を多面的かつ客観的に適切にレビューすることにより、評価結果を賞与や昇給・昇格に適切に反映させるとともに、職員の勤労意欲の向上を図ることとする。	個人評価においては、適切な目標を設定し、その達成状況を多面的かつ客観的に適切にレビューする業績評価、役職に応じて設定された行動項目に基づく発揮能力評価により、評価結果を賞与や昇給・昇格に適切に反映させるとともに、職員の勤労意欲の向上を図る。	＜評価軸＞ ・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。 ＜評価指標＞ ・個人評価の実施及び職員の勤労意欲の向上への取組状況。	■人事評価制度の運用・定着 ・人事評価については、適切な目標を設定し、その達成状況を多面的かつ客観的にレビューする業績評価及び役職に応じて設定された行動項目に基づく発揮能力評価を毎年度計画的に実施した。 ・管理職を対象とした評価者向け研修を実施し制度の普及、定着を図った。 ・業績評価、発揮能力評価は定年制職員、任期制職員を対象とし実施した。組織目標を基に目標管理シートを作成、期中に中間面談を実施し、進捗等の確認を行った。評価結果については契約更新の判断材料、昇給、期末手当への反映を行った。 ・評価結果を処遇等に反映させることにより、職員の勤労意欲の向上を図った。 ■AMED プログラムオフィサー(AMED-PO)制度の策定、認定等の運用 ・AMED プログラムオフィサー (AMED-PO) 制	＜評価と根拠＞ 評価：B 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。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。業務の効果的、効率的な実施を図るため基礎研修を実施、また職員の能力開発に資する研修も実施した。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。 【人事評価制度の運用・定着】 ・人事評価については、人事評価制度研修会の開催など、適切に運用・定着が図られている。				

				度を平成 28 年度に策定し、毎年度制度の運用を行った。その結果、平成 30 年度までに 97 名を AMED-PO として認定した。	【AMED-PO 制度の策定、認定等の運用】 ・AMED-PO 制度を策定し、97 名の職員を認定し、業務対するモチベーションの向上、成果の創出を図った。		
			<モニタリング指標> ・新規入構者、セクハラメンタル等研修参加者数	■基礎研修 ・業務の効果的、効率的な実施を図るため基礎事項の周知・徹底、業務マネジメントの意識化、グローバル化に対応した計画を策定し、以下の研修を実施した。 ➤ AMED 全体研修 ➤ ハラスメント研修、メンタルヘルス研修等 ➤ 英会話研修、英文 E-mail 研修 ➤ 安全保障輸出管理研修 ➤ 人事評価制度研修 ・業務の効果的、効率的な実施のため基礎事項の周知・徹底、業務マネジメントの意識化、グローバル化に対応した計画を基に AMED 全体研修（基本研修）等を実施した。 ・AMED 全体研修（基本研修）、ハラスメント研修、メンタルヘルス研修、英会話研修、英文 E-mail 研修、人事評価制度研修、安全保障輸出管理研修などを実施した。	【基礎研修】 ・業務の効果的、効率的な実施を図るため基礎事項の周知・徹底等目的とした研修を実施した。		
	また、職員の能力開発を図るため、業務を行う上で必要な知識の取得に向けた研修の機会を設けるなど、当該業務実施に必要な知識等の獲得に資する能力開発に努めるものとする。	また、職員の能力開発を図るため、業務を行う上で必要な知識の <u>習得</u> に向けた研修の機会を設けるなど、当該業務実施に必要な知識等の獲得に資する能力開発に努める。	<評価軸> ・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。 <評価指標> ・職員の能力開発への取組状況	■能力開発研修 ・職員の能力開発について、業務実施上必要な基礎的知識、実践的な知識取得と専門分野の知識習熟を目的として計画を策定し、医療研究開発業務基礎研修を実施した。 ➤ 医療研究開発業務基礎研修 ➤ 共通基幹業務研修 ➤ 知的財産に関する研修等 ■能力開発研修 ・職員の能力開発について、業務実施上必要な基礎的知識、実践的な知識取得と専門分野の知識習熟を目的として計画を策定し、医療研究開発業務基礎研修を実施した。 ・臨床研究を含む医療研究開発に係る全般的な基礎知識（医薬品、医療機器開発、実用化プロセ	【能力開発研修】 ・業務上で必要な知識の修得を図ることを目的に、各種研修を実施した。		

				ス、GCP 等の規制要件、研究公正・研究倫理等）を得るための研修として、機構の事業部横断的な研修を実施した。			
	また、女性の活躍を促進するための取組を推進する。	また、女性の活躍を促進するための取組を推進する。	＜評価軸＞ ・女性の活躍を促進するための取組を推進したか。 ＜評価指標＞ ・女性の活躍を促進するための取組状況	■女性の活躍促進、育児・介護等制度の整備 ・男女共同参画を推進するため、育児、介護にかかる休業や部分休業の制度、育児、介護にかかる早出遅出勤務の制度等の利用促進を図った。 ・次世代育成支援対策推進法に基づく一般事業主行動計画を策定し、ホームページを通じて機構内外へ公表した。	【女性の活躍促進、育児・介護等制度の整備】 ・育児、会議にかかる各種制度の利用促進を着実に実施した。		

4. その他参考情報
特になし。

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

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

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

4. その他参考情報	
特になし。	

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

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

	中長期目標	中長期計画	主な評価指標	法人の主な実績等・自己評価		主務大臣の評価			
				主な業務実績等	自己評価	（見込評価）		（期間実績評価）	
						評価		評価	
	個人評価においては、適切な目標を設定し、その達成状況を多面的かつ客観的に適切にレビューすることにより、評価結果を賞与や昇給・昇格に適切に反映させるとともに、職員の勤労意欲の向上を図ることとする。	①人材配置 職員の業績等の人事評価を定期的 に実施し、その結果を処遇、人材配置等に適切かつ具体的に反映する。 ②人材育成 業務上必要な知識及び技術の取得、自己啓発や能力開発のための研修制度を適切に運用する。	＜評価軸＞ ・人材の配置に関する運用は適切か ＜評価指標＞ ・人材の配置に関する運用状況 ＜評価軸＞ ・人材の育成に関する運用は適切か。 ＜評価指標＞ ・人材の育成に関する運用状況 ＜モニタリング指標＞ ・能力開発に係る研修（参加者数）	■人材配置 ・人事評価については、適切な目標を設定し、その達成状況を多面的かつ客観的にレビューする業績評価及び役職に応じて設定された行動項目に基づく発揮能力評価を毎年度計画的に実施した。 ・評価結果については、任期制職員等は毎年度の契約更新の判断材料として用いるとともに、4月の昇給、期末手当等へ反映した。定年制職員は7月の昇給、期末手当等へ反映した。また人員配置を行う上での判断材料としても活用した。 ■人材育成 ・業務の効果的、効率的な実施のため基礎事項の周知・徹底、業務マネジメントの意識化、グローバル化に対応した計画を基に AMED 全体研修（基本研修）等を実施した。 ・職員の能力開発について、業務実施上必要な基礎的知識、実践的な知識取得と専門分野の知識習熟を目的として計画を策定し、医療研究開発業務基礎研修を実施した。	＜評価と根拠＞ 評価：B 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。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。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。以上から目標を達成していると認められる。 【人材配置】 ・業績評価、発揮能力評価を毎年実施した。 ・評価結果については、契約更新の判断材料、及び処遇に反映させた。				

					【人材育成】 ・基礎事項の研修を着実に実施した。 ・職員の能力開発に向けた研修についても着実に実施した。		
--	--	--	--	--	---	--	--

4. その他参考情報
特になし。

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

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

	中長期目標	中長期計画	主な評価指標	法人の主な実績等・自己評価		主務大臣による評価			
				主な業務実績等	自己評価	(見込評価)		(期間実績評価)	
						評価		評価	
	各年度期末における運営費交付金債務に関し、その発生要因等を厳格に分析し、減少に向けた努力を行うこととする。	中長期目標を超える債務負担については、当該債務負担行為の必要性及び資金計画への影響を勘案し、合理的と判断されるものについては行うことがある。	＜評価軸＞ ・債務負担額は適切か。 ＜評価指標＞ ・中長期目標期間を超える債務負担額の状況	＜主要な業務実績＞ ■中長期目標期間を超える債務負担額の状況 ・中長期目標期間を超える債務負担については、当該債務負担行為の必要性及び資金計画への影響を勘案し、合理的と判断されるものについて行っている。	＜評価と根拠＞ 評価：－ 中長期目標期間を越える債務はあるが、いずれも毎年度予算措置される運営費交付金の範囲で賄えるものと考えており、資金計画にも影響はない。				

4. その他参考情報	
特になし。	

1. 当事務及び事業に関する基本情報			
IV―(9)	(9)機構法第 17 条第 1 項に規定する積立金の処分に関する事項		
当該項目の重要度、困難度	－	関連する政策評価・行政事業レビュー	－

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

	中長期目標	中長期計画	主な評価指標	法人の主な実績等・自己評価		主務大臣による評価			
				主な業務実績等	自己評価	(見込評価)		(期間実績評価)	
						評価		評価	
	各年度期末における運営費交付金債務に関し、その発生要因等を厳格に分析し、減少に向けた努力を行うこととする。	前期中長期目標の最終年度における積立金残高のうち、主務大臣の承認を受けた金額については、国立研究開発法人日本医療研究開発機構法に定める業務の財源に充てる。	<評価軸> ・積立金の活用は適切か。 <評価指標> ・積立金の活用状況	<主要な業務実績> ■積立金の活用状況 ・前中長期目標期間繰越積立金はないため、実績なし。	<評価と根拠> 評価：－ ・実績なし。				

4. その他参考情報									
特になし。									

日本医療研究開発機構自己評価委員会名簿

委員長	末松	誠	理事長
委員	梶尾	雅宏	理事
	信濃	正範	執行役
	泉	陽子	統括役
	谷	広太	経営企画部長
	矢作	均	総務部長
	吉徳	光男	経理部長
	塚本	圭二	研究公正・法務部長
	岩谷	一臣	知的財産部長
	岩本	愛吉	戦略推進部長
	竹上	嗣郎	産学連携部長
	野田	正彦	国際事業部長
	加藤	治	基盤研究事業部長
	井本	昌克	臨床研究・治験基盤事業部長
	河野	典厚	創薬戦略部長
	林	直治	革新基盤創成事業部長

(参考)

研究・経営評議会委員 名簿

かみむら
上村 みどり 帝人ファーマ（株） 生物医学総合研究所 上席研究員

きつれがわ まさる
喜連川 優 大学共同利用機関法人 情報・システム研究機構
国立情報学研究所 所長
東京大学 生産技術研究所 教授

こんどう たつや
◎近藤 達也 国立研究開発法人 国立国際医療研究センター
名誉院長

しかの まゆみ
鹿野 真弓 東京理科大学 薬学部 薬学科 教授

しょうじ く に こ
昌子 久仁子 神奈川県立保健福祉大学大学院
ヘルスイノベーション研究科 教授

ち ば つとむ
千葉 勉 関西電力病院 院長

ながい りょうぞう
永井 良三 自治医科大学 学長

よねだ よしひろ
米田 悦啓 国立研究開発法人 医薬基盤・健康・栄養研究所
理事長

◎議長

※ 五十音順、敬称略

自己評価に関する規則

(平成27年4月1日 平成27年規則第6号)

改正 (平成28年4月1日 平成28年規則第42号)

(目的)

第1条 この規則は、国立研究開発法人日本医療研究開発機構（以下「機構」という。）における自己評価の実施に関して、その具体的な方法を定めることを目的とする。

(基本方針)

第2条 自己評価は、次の各号に定める方針により行う。

- (1) 独立行政法人通則法（平成11年法律第103号）、独立行政法人の評価に関する指針（平成26年9月2日総務大臣決定）及び国の研究開発評価に関する大綱的指針（平成24年12月6日内閣総理大臣決定）を踏まえ、国が機構に提示した中長期目標の達成状況を明らかにし、業績に係る説明責任を果たすとともに、機構が実施する業務について厳正な評価を実施し、運営上の改善事項を抽出すること等によってより効果的な業務運営実施及び改善を図ることを目的として実施するものとし、その結果を内閣総理大臣、文部科学大臣、厚生労働大臣及び経済産業大臣に提出するものとする。
- (2) 別に定める機構の実施する研究開発事業を対象とした評価（以下「事業評価」という。）及び研究開発課題を対象とした評価（以下「課題評価」という。）を有機的に連携させる。

(自己評価の実施方法等)

第3条 自己評価の実施方法等は、次の各号に掲げるとおりとする。

- (1) 自己評価は、機構の実施する個々の業務それぞれについての実施状況・業務実績を明らかにするとともに、これらの結果を踏まえて機構の運営全般についての総合評価を行うことにより実施するものとする。
- (2) 自己評価は、機構が主体となって実施する。
- (3) 自己評価は、毎事業年度の終了後に実施するものとする（年度評価）。ただし、中長期目標の期間の最後の事業年度の直前の事業年度については、中長期目標の期間の終了時に見込まれる中長期目標の期間における業務の実績評価（見込評価）及び中長期目標の期間の最後の事業年度については、中長期目標の期間における業務の実績評価（期間実績評価）、並びに独立行政法人通則法第35条の6第2項に定める中間期間における業務の実績評価（中長期目標期間中間評価）を別途実施するものとする。

(自己評価の視点)

第4条 自己評価は、次の各号に掲げる視点により実施するものとする。

(1) 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) 業務運営の効率化に関する事項

(3) 財務内容の改善に関する事項

(4) その他業務運営に関する重要事項

(自己評価の体制)

第5条 第2条第1号の目的を達するため、理事長は自己評価委員会を置くとともに、研究・経営評議会による外部評価を実施する。

(自己評価委員会)

第6条 自己評価委員会は自己評価を行い、その結果を自己評価書としてとりまとめて外部評価委員会に報告する。

2 自己評価委員会は、委員長及び委員をもって構成する。

(1) 委員長は、理事長とする。

(2) 委員は、理事、執行役及び部長をもって構成する。ただし、委員長は、必要に応じて自己評価委員会の構成員を追加することができる。

(3) 委員長に事故があるときは、あらかじめその指名する者が、その職務を代行する。

(外部評価)

第7条 研究・経営評議会は、自己評価書を評価し、意見を取りまとめて理事長に報告する。

(評価結果の取扱い)

第8条 評価結果の取扱いは、次の各号に定めるとおりとする。

(1) 評価結果は、現行の中長期計画又は年度計画の見直し、次期以降の中長期計画又は年度計画の策定、機構内部の組織体制の見直し、人事計画、法人内部の予算配分、業務手法の見直し、役職員の処遇等に活用するものとする。

(2) 評価結果及びその反映状況は、できる限り国民にわかりやすい形でまとめて公表するものとする。

(自己評価関連業務実施体制)

第9条 自己評価に必要な業務は、経営企画部が関係各部室の協力を得て実施する。

(その他)

第10条 この規則に定めるもののほか、この規則の施行に関し必要な事項は、理事長がこれを定める。

附 則

この規則は、平成27年4月1日から施行する。

附 則 (平成28年4月1日 平成28年規則第42号)

この規則は、平成28年4月1日から施行する。