

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）

注 1) 重点化の対象としない項目については、法人の業務管理に活用しやすい単位ごとに、複数の項目をまとめて作成することが可能

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		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	

注 2) 複数の項目をまとめて作成する場合には、適宜行を追加し、項目ごとに主要な経年データを記載

注 3) 予算額、決算額は支出額を記載。人件費については共通経費分を除き各業務に配賦した後の金額を記載

3. 中長期目標、中長期計画、年度計画、主な評価軸、業務実績等、年度評価に係る自己評価及び主務大臣による評価								
中長期目標	中長期計画	年度計画	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	評価		
<p>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。</p> <p>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、</p>	<p>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。</p> <p>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。</p>	<p>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。</p> <p>具体的には、革新的医療技術創出拠点プロジェクトにおいて、橋渡し研究支援拠点、臨床研究中核病院のいわゆる革新的医療技術創出拠点（この項において以下、「拠点」という。）の一体的な運営を推進するために文部科学省及び厚生労働省と協力しつつAMEDが中心となって、全体会議を運営し、拠点間の情報共有を図る。また、課題選考委員会を設置し、適切な課題を選定するととも</p>	<p>&lt;評価軸&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>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。</li> </ul> <p>&lt;モニタリング指標&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>左記の評価軸に係る取組状況</li> </ul>	<p>■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</p> <p>【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(※)】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>平成30年8月～11月にかけて13拠点のサイトビジットを行い、平成29年度のサイトビジットでの指摘事項に対する対応や、研究成果の実用化のための体制構築について各拠点の取組状況をヒアリングするとともに、PD、PS、PO、文部科学省、厚生労働省等と連携の上、拠点のARO機能等の体制整備状況について適切なアドバイスを行った。平成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。</li> <li>平成30年度革新的医療技術創出拠点プロジェクト関連シーズについては、平成29年度公募に引き続き、文部科学省が所管する橋渡し研究戦略的推進プログラムと厚生労働省が所管する革新的医療シーズ実用化研究事業を、同一の課題評価委員会で一体的に評価出来るよう、PD、PS、PO、文部科学省及び厚生労働省と調整を行い、平成29年12～平成30年3月、平成30年6～8月に合同公募を実施した。</li> <li>本事業における具体的な成果の例は次のとおり。</li> </ul> <p>(成果の例)</p> <p>アカデミア発医療技術の実用化</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>自家骨髄間葉系幹細胞（脊髄損傷）</li> <li>人工真皮</li> <li>AMG0001</li> <li>メラ金属コネクタ</li> </ul>	<p>&lt;評価と根拠&gt;</p> <p>評価：A</p> <p>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、臨中ネットの整備を開始する等、拠点以外の研究機関との連携の強化と拠点保有情報等の確認をすすめた。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。</p> <p>【拠点や病院の一体的な運営の促進】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>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ことは評価できる。</li> </ul>	<p>評価</p>		

		<p>に、PD、PS、PO によるサイトビジット等による体制整備状況の確認・助言や、全体会議等による拠点運営への助言により、各拠点が一体的な運営を行える体制を構築する。</p>		<p>医師主導治験の実施</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・椎間板再生治療における組織修復材の開発</li> <li>・AMPA 受容体可視化のための PET プローブ</li> <li>・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</li> <li>・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</li> <li>・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</li> <li>・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</li> <li>・次世代シーケ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</li> <li>・認知症に対する経頭蓋超音波治療装置の開発</li> <li>・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</li> </ul> <p>※臨床研究中核病院関連事業 医療技術実用化総合促進事業（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）、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</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>・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。</li> </ul> <p>&lt;今後の課題&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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。</li> </ul>	
<p>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。</p>	<p>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</p>	<p>拠点機能の強化・特色化のために、拠点におけるデータマネージャー、生物統計家、レギュラトリーサイエンスの専門家などの専門人材確保に加えて、教育訓練や講習会、オン・ザ・ジョブ・トレーニング等による若手研究者を含めた人材育成の実施を推進する。先進的なプログラムの導</p>	<p>&lt;評価軸&gt; 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。</p> <p>&lt;モニタリング指標&gt; ・上記の評価軸に係る取組状況等</p>	<p>■人材確保・育成を含めた拠点機能の強化・特色化</p> <p>【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(※)、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】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・医療技術実用化総合促進事業の臨床研究・治験従事者研修及び啓発事業において、質の高い臨床研究を実施できるようにするため、臨床研究コーディネーター（CRC）の経験を積んだリーダーシップが取れる上級者 CRC、データを迅速にまとめ、その質を確保するデータマネージャー（DM）及び治験・倫理審査委員、臨床研究実施者である医師・歯科医師向けの研修、倫理審査委員会・治験審査委員会委員養成研修を実施した。平成 29 年度より臨床研究中核病院が主催し、平成 30 年度は医師研修を 8 回、DM 研修を 4 回、上級者 CRC 研修を 2 回、治験・倫理審査委員研修を 6 回開催し、合計約 800 名の参加者を得た。</li> <li>・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。</li> <li>・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</li> </ul>	<p>【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】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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、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。</li> </ul> <p>&lt;今後の課題&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・臨床研究法が施行され、一層質</li> </ul>	

	<p>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。</p>	<p>入や人材交流について検討する。さらに、橋渡し研究支援拠点のネットワーク機能を更に強化するため、拠点への拡充や拠点外との連携強化のための調査等を実施するとともに、オープンアクセス化を目指してデータマネジメントポリシーの策定に必要な各拠点の保有情報等の確認を実施する。</p>	<p>開発に資する人材育成を目指して <b>Translational Science &amp; Medicine Training Program (TSMTMP)</b> や <b>Japan Biodesign</b> 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 <b>Research Studio</b> 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。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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。</li> <li>・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、TSMTMP、Japan Biodesign、Research Studio の人材育成プログラムの進捗報告と ARO 支援人材の育成・キャリアパスについてのパネルディスカッションを2019年2月28日に開催した。</li> <li>・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。</li> <li>・国際共同研究実施推進プログラムにおいては、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（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「競争から協奏へ」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。</li> <li>・拠点へのサイトビジット等において、プロジェクトマネジメント、臨床研究コーディネーター（CRC）、データマネージャー（DM）、モニタリング、監査、生物統計家等、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。</li> <li>・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拠点として、「東京大学大学院」と「京都大学大学院」を各々核とする2つの拠点を選定、製薬企業からの寄附金と国の研究資金を基として、産学官が一体となった環境整備事業を開始、各大学院は「生物統計講座」を新たに設置し平成30年には学生受け入れ</li> </ul>	<p>の高い臨床研究の遂行が要求される。そのためには医師以外の職種が協働することが必須であり、それらの職種を評価の基盤を作る必要がある。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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。</li> </ul>	
--	--	---	--	---	--

				<p>を開始した。合計 21 名が第一期生として在籍中で、研鑽に励んでいる。</p> <p>■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</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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、サイトビジットによる調査などを通じて確認を行った。</li> <li>・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。</li> <li>・これらの取り組みを通じ、拠点外シーズ数は 406 件（平成 29 年度 317 件）と増加した。</li> </ul> <p>※臨床研究中核病院関連事業 医療技術実用化総合促進事業（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）、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</p>		
<p>また、ICH-GCP 準拠の国際水準の質の高い臨床研究や医師主導治験を実施するとともに、ARO 機能を持ち、多施設共同研究の支援を行う施設としてこれら拠点の整備を進める。なお、ARO 機能の更なる活用のため、各医療機関が有する ARO 機能について客観的な評価も行う。</p>	<p>臨床研究中核病院等といった ICH-GCP 準拠の国際水準の臨床研究や医師主導治験を実施又は支援することが可能な環境の整備を推進するとともに、橋渡し研究支援拠点において基礎研究段階から実用化まで一貫した支援を行う人材・体制を整備して、育成したシーズを強力かつ切れ目なく効率的に実用化につなげる体制の構築を推進する。なお、ARO 機能の更なる</p>	<p>臨床研究中核病院等の整備及び拠点における国際水準の臨床研究や医師主導治験の推進を行うとともに、特に国際共同臨床研究実施推進拠点が国内外の研究機関との連絡・調整を行い国際共同臨床研究・治験の実施・支援を行う中核となる体制を構築する。また、拠点のネットワークを強化し、一体的な運用を進めるとともに、拠点内外のシーズを対象と</p>	<p>&lt;評価軸&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・ICH-GCP 準拠の国際水準の質の高い臨床研究や医師主導治験を実施するとともに、ARO 機能を持ち、多施設共同研究の支援を行う施設としてこれら拠点の整備を進めたか。</li> <li>・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。</li> </ul> <p>&lt;モニタリング指標&gt;</p>	<p>■臨床研究中核病院等の整備と研究開発の推進</p> <p>【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(※)】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・臨床研究中核病院、国際共同臨床研究実施推進拠点及び臨床研究品質確保体制整備病院に対し、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。</li> </ul> <p>※臨床研究中核病院関連事業 医療技術実用化総合促進事業（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）、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</p> <p>■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</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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。</li> <li>・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</li> </ul>	<p>【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】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・ICH-GCP 準拠の質の高い医師主導治験の実施により医薬品医療機器等法に基づく承認品目が出たことは高く評価できるとともに、中長期目標及び今年度目標に掲げられている医療機関に対し、PD、PS、PO とともに文部科学省、厚生労働省とともにサイトビジット等を行い、ARO 機能の整備状況の確認及び改善・向上の為の適切な指導・助言を実施したことは、今後の成果の創出に資するものであり評価できる。</li> </ul>	

	<p>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。</p>	<p>し、育成したシーズを協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。</p> <p>平成 30 年 4 月から施行される臨床研究法に対応した質の高い臨床研究開発を滞りなく進められるよう、公募要領の改訂等 AMED 内で部署横断的な情報共有を継続していく。</p> <p>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に対する支援を行う。</p>	<p>・左記の評価軸に係る取組状況等</p>	<p>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。</p> <p>・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。</p> <p>■ARO 機能の客観的な評価</p> <p>・平成 29 年度は「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。</p> <p>■中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会の推進</p> <p>・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) において検討することで、審査する研究の質の担保を図ると共に研究の促進を図った。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。</p> <p>・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</p>	<p>&lt;今後の課題&gt;</p> <p>・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。</p>	
--	---	---	------------------------	--	---	--

				<p>した。</p> <p>※臨床研究中核病院関連事業 医療技術実用化総合促進事業（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）、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</p>	
<p>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、</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・医師主導治験届出数 年間40件</li> <li>・First in Human (FIH) 試験（企業治験を含む）年間40件を目指すものとする。</li> </ul>	<p>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、</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・医師主導治験届出数 年間40件</li> <li>・First in Human (FIH) 試験（企業治験を含む）年間40件を目指すものとする。</li> </ul>	—	<p>&lt;評価指標&gt;</p> <p>【2020年までの達成目標】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・医師主導治験届出数 年間40件</li> <li>・First in Human (FIH) 試験（企業治験を含む。）年間40件</li> </ul> <p>&lt;モニタリング指標&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・応募件数及び採択件数</li> <li>・事業に参画している研究者延べ人数</li> <li>・PMDA への薬事戦略相談を行った研究開発課題数</li> <li>・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</li> </ul>	<p>■医療分野研究開発推進計画 達成すべき成果目標 (KPI)</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・医師主導治験届出：36件（平成29年度 33件） ※AMED 全体では 59件（平成29年度 49件）（革新拠点と他事業の件数を単純計算し算出）</li> <li>・FIH 試験（企業治験を含む）：22件（平成29年度 26件） ※AMED 全体では 32件（平成29年度 45件）（革新拠点と他事業の件数を単純計算し算出）</li> <li>・応募件数及び採択件数：211件及び52件</li> <li>・事業に参画している研究者延べ人数：3309人</li> <li>・PMDA への薬事戦略相談を行った研究開発課題数：185件（拠点の支援シーズにおける実施件数）</li> <li>・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：53件</li> </ul> <p>【参考】（実用化関連指標） 製造販売承認件数 10件、企業導出件数 16件</p> <p>&lt;平成29年度実績に係る外部評価委員会における指摘事項&gt;</p> <p>■指摘事項</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・将来の研究開発の発展のために、若手研究者の育成を更に推進すること。</li> </ul> <p>【対応状況】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・Translational Science &amp; Medicine Training Program (TSMTP)、Japan Biodesign に加えて、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。</li> <li>・TSMTP、Japan Biodesign、Research Studio について橋渡し研究支援</li> </ul>	

				<p>拠点間ネットワークでの情報交換を目的とした、人材育成プログラム連絡会を2018年10月25日に開催した。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>平成30年度革新的医療技術創出拠点プロジェクト成果報告会において、TSMTP、Japan Biodesign、Research Studio の人材育成プログラムの進捗報告と ARO 支援人材の育成・キャリアパスについてのパネルディスカッションを2019年2月28日に開催した。</li> <li>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。</li> </ul> <p>■指摘事項</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>将来の研究開発の発展のために、データサイエンティスト等の研究支援者に対してもきめ細かい支援を進めること。</li> </ul> <p>【対応状況】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>革新的医療技術創出拠点プロジェクト関連シーズ、臨床研究・治験推進研究事業では、平成30年5月以降の公募において、採択課題の決定後、データサイエンティストの関与と活動状況を把握し支援するためデータマネジメントプラン提出を求めた。2019年5月リリース予定のAMSに反映されるよう登録を完了する。</li> </ul> <p>■指摘事項</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>国際戦略の推進の面では、海外事務所の活発な活動により更なる国際連携を進めているが、国際レビューアの導入を契機として、より質の高い国際共同研究の取組を進めること。</li> </ul> <p>【対応状況】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>より質の高い国際共同研究推進への取組の端緒として、臨床研究・治験推進研究事業の平成31年度1次公募における国際レビューア導入を検討し、10月に公募テーマおよび国際レビューア候補者を決定、11月に公募開始、12月から1月にかけて提案課題のレビューを行った。レビューアのコメントを集約し1月の事前評価委員会に還元し課題選考の参考とし、2月に採択課題を決定した。</li> </ul> <p>■指摘事項</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>革新的医療技術創出拠点事業については、作業の効率化に努めつつ拠点以外の研究への支援を更に進めること。</li> </ul> <p>【対応状況】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>各拠点へのサイトビジットに合わせて、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。また、2019年度の橋渡し研究戦略的推進プログラムのシーズB、シーズC公募時、及び、2019年度補助事業計画書の提出時に、各拠点における拠点外シーズ選定の手順についてより詳細な報告を受けた。</li> </ul>	
--	--	--	--	--	--

					<p>&lt;平成 29 年度主務大臣による評価を踏まえた課題&gt;</p> <p>■指摘事項</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・サイトビジットについて、効果的・効率的な実施方法を検討しながら、継続的に取り組むことが求められる。また、各拠点の成果の把握の方法（様式）、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継続的な指導助言などについては、文部科学省、厚生労働省及び拠点とともに検討が必要である。</li> </ul> <p>【対応状況】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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。</li> </ul> <p>■指摘事項</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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・持続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。</li> </ul> <p>【対応状況】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・医療技術実用化総合促進事業において、①臨床研究・治験従事者、②上級者臨床研究コーディネーター、③倫理審査委員会・治験審査委員会委員、④データマネージャーの4つの専門人材に対する研修を、2018年7月～2019年3月にかけて実施した。</li> <li>・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 &amp; 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。</li> <li>・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</li> </ul>		
--	--	--	--	--	---	--	--

				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。 ・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、 <b>TSMTTP、Japan Biodesign、Research Studio</b> 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。	
業務を通じた医療分野の研究開発に関する研究不正の防止に関するノウハウの蓄積及び専門的な人材の育成に努める。	また、研究倫理教材による研究者に対する研究開発活動の不正行為の防止に係る啓発活動等の取組により、ノウハウを蓄積するとともに、専門的な人材の育成に取り組むことで、研究開発活動の不正行為の防止の取組を強化する。さらに、研究費の配分機関として、「研究活動における不正行為への対応等に関するガイドライン」(平成 26 年 8 月文部科学大臣決定)等に則って、不正行為の疑惑が生じた際等に適切に対応する。	また、研究機関の人材育成に関する支援、AMED からの研究資金の配分を受けている研究機関の研究公正関係者が情報交換できる場である RIO ネットワークを通じての積極的な情報交換等、研究機関との連携・協力体制を構築するとともに、引き続き研究開発活動の不正行為の防止に関するノウハウの蓄積を図る。	<p>&lt;評価軸&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・業務を通じた医療分野の研究開発に関する研究不正の防止に関するノウハウの蓄積及び専門的な人材の育成に努めたか。</li> </ul> <p>&lt;評価指標&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・研究不正の防止に関するノウハウの蓄積、専門的な人材育成の取組状況</li> </ul> <p>&lt;モニタリング指標&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・研究不正防止に係る外部向け説明会、展示会等開催回数及び参加者数</li> </ul>	<p>■研究倫理教育プログラムの履修と利益相反管理</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・【研究倫理教育プログラムの履修】</li> <li>・国のガイドラインに基づき、不正行為等を事前に防止する取組の一環として、機構の所管する研究費により行われる研究活動に参画する研究者全員を対象に、研究倫理教育プログラムの履修を義務付け、ホームページにて公表している。</li> <li>【利益相反管理】</li> <li>・研究の実施にかかる体制整備の一環として、各研究開発課題における利益相反管理の状況の報告を研究開発代表者及び研究開発分担者に求めた。</li> <li>・平成 30 年度末で経過措置が終了となるため、小規模な企業や病院でも利益相反管理が実施可能となるよう規則を改正した。平成 31 年度以降の円滑な適用が図られるよう、研究者において適切な運用がなされるように FAQ などを充実させるなど周知に努めた。</li> </ul> <p>■ノウハウ蓄積と専門的な人材育成の取組</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>【研究機関・研究者の意識の底上げのための取組】</li> <li>・研究機関における研究不正未然防止の強化や研究公正の高度化を図ることを目的として教育教材等の作成及び研究公正の取組強化のための調査研究を進めた。</li> <li>・特に、「研究倫理教育に関するモデル教材・プログラム等の開発」は、研究現場での研究倫理教育に関するニーズを踏まえた目的・内容の提案を、公募により受け付けて教育研修教材等を開発するという特徴ある事業であり、平成 30 年度が最終年度であるため、本事業において作成された教材等を AMED の HP で公開した。また、平成 31 年 2 月 6 日に「研究公正シンポジウム 平成 28 年度研究公正高度化モデル開発支援事業成果報告会」を開催し、関係者に研究成果を紹介する機会を設けた。一般参加者は 199 名であった。</li> <li>・将来の研究開発の発展及び非臨床研究の研究データの質向上のため、研究現場での研究データの質向上指導者を育成する教育プログラムを開発し、全国各地で研修会を開催して指導者を育成する「研究データの質向上の指導者育成プログラム開発事業」の初年度にあたり、平成 30 年 5 月 15、16 日にエジンバラ大学の研究データの専門家を招聘してキックオフミーティングを開催し、また平成 30 年 11 月 26 日にプログラム方針に対する助言を頂くためのアドバイザーボード会議を開催した。研究支援者に対してもきめ細かい支援を進め、この研修を受講した研究者の中</li> </ul>	<p>【研究倫理教育プログラムの履修と利益相反管理】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・機構の事業に参加する研究者に対する研究倫理教育プログラム履修の義務付け、研究機関における利益相反管理規則を受け、FAQ などを充実させ、運用を図ったことは評価できる。</li> </ul> <p>&lt;今後の課題&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・研究倫理教育プログラムの履修状況及び利益相反管理状況の報告について、AMED への報告方法などの運用を改善し、これら研究機関等へ適切な周知を行う。</li> </ul> <p>【ノウハウ蓄積と専門的な人材育成の取組】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・研究不正未然防止の強化や研究公正の高度化を目的とした教育教材の作成等事業、研究公正責任者など約 900 機関、約 2,500 名がメンバーの RIO ネットワークの公開を受け、本年度は規模の拡大を図ったことは評価できる。</li> <li>・研究倫理に関する情報提供のためのホームページ公開及びケースブックの「考え方例集」の作成等を実施したことは評価できる。また、他法人との連携も含めた各種セミナー、シンポジウムを通して、参加者の意識の底上げに寄与することができたこと</li> </ul>

				<p>から、データサイエンスに興味を持ちデータサイエンティストとして活躍する人材も出てくることが期待される。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・RIO (Research Integrity Officer: 研究公正責任者の略研究機関の研究公正関係者) は、組織内において、連携・協力関係が希薄な存在になりがちなど、AMED がそのような立場の者を横断的に結びつけ、気軽に情報交換ができる場を提供すべく、平成 29 年 7 月に『RIO ネットワーク』を構築した。同年 9 月から毎週メールマガジンを配信しており、本年度も実施した。(平成 31 年 3 月末の登録機関数: 約 900 機関、約 2,500 名)。</li> <li>・RIO ネットワークの構築により、研究公正に関する諸情報が研究公正責任者等に速やかに伝達できるようになった。また、RIO ネットワークシンポジウムの資料及び動画等の公開や、研究公正高度化モデル開発支援事業における教材及び教育プログラムの作成状況を周知した結果、速やかな閲覧や利用が図られた。結果、RIO ネットワークの構築とシンポジウムの開催の相乗効果により、研究倫理責任者等の知識・能力の向上のための研究倫理教育教材の普及が進められた。</li> <li>・RIO ネットワークメンバーの提案により、分科会として「倫理審査委員教育実施に向けたワークショップ」を平成 31 年 1 月 30 日と 2 月 20 日に東京で、3 月 20 日に大阪で開催した。参加者は 3 会場で 113 名であり、参加者は倫理審査委員会委員の教育の実施方法を学ぶとともに、今後参加者同士で情報共有・交換ができる関係が構築された。</li> <li>・臨床研究法や研究倫理指針を適用して実施される研究開発に携わる者(研究者、倫理審査委員会の委員、及び事務局員、研究倫理コンサルタントなど)に、機構の研究倫理に関する諸情報等を集約して、わかりやすく提供するための、「研究倫理ホームページ」を平成 30 年 5 月に公開した。</li> <li>・研究不正防止の観点からは、研究公正関係者を支援した RIO ネットワークの取組を更に進めるため、メールマガジンの毎週配信を継続するとともに、文部科学省研究公正推進事業の一環として「双方向型の研究倫理教育プログラム」向けの教育教材として、主に医療分野の研究開発における不正行為等の事例集「事例から学ぶ公正な研究活動～気づき、学びのためのケースブック～ 普及版」を平成 30 年 3 月に刊行し、平成 30 年 4 月以降、RIO ネットワークなどを通じて約 2,400 部を配布した。また、PDF 版を 6 月に AMED の研究公正の HP で公開した。</li> <li>・研究倫理教育の講師やファシリテーターの経験が浅い人にも上記のケースブックを活用していただけるように、ケースブックに記載されている「設問」に対する標準的な考え方をまとめた「考え方例集」を平成 30 年度に編集し、平成 31 年 3 月に刊行した。4 月以降に RIO ネットワークなどを通じて配布する予定である。</li> <li>・「資金配分機関部会」(平成 30 年 10 月)を開催し、資金配分機関における研究公正情報の共有や RIO ネットワーク等の共同で実施する研究公正</li> </ul>	<p>が評価出来る。</p> <p>&lt;今後の課題&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・研究不正の防止に関するノウハウの蓄積、専門的な人材育成の取組に資する RIO ネットワークは、2019 年度はトピックス等に応じた小規模な分科会的な活動をさらに活発化させる。またメールマガジンの配信サービスも、一方的な情報発信ではなく、双方向の情報交換となるよう充実を図るとともに、ケースブックの普及も継続して進める。</li> </ul>	
--	--	--	--	---	--	--

				<p>事業の連絡調整を行った。また、「打合せ会」(同年 12 月)を開催し、研究公正事象の連携・推進の観点から、研究公正情報の共有、各事業の連絡調整を行った。</p> <p>【セミナー、シンポジウムの開催】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>平成 30 年 12 月 5 日に、東京で、12 月 13 日に大阪で研究公正セミナー『専門家から見た研究データ ～不適切な処理はすぐにわかります～』を開催した。2 名の講師の講演及び総合討論があり、参加者は 2 会場で 148 名だった。</li> <li>平成 30 年 12 月 7 日に、日本生命倫理学会第 30 回年次大会主催、AMED 共催で『研究公正シンポジウム 研究倫理教育の課題と展望』を京都で開催した。基調講演とパネルディスカッションを行い、参加者は 95 名だった。</li> </ul> <p>&lt;モニタリング指標&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>研究不正防止に係る外部向け説明会、展示会等開催回数及び参加者数 説明会等：8 回、1,431 名 シンポジウム等（共催含む）：8 回、578 名 計 16 回、2,009 名</li> </ul> <p>&lt;平成 29 年度年度評価、外部評価委員会における指摘事項の対応状況&gt;</p> <p>■指摘事項</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>将来の研究開発の発展のために、データサイエンティスト等の研究支援者に対してもきめ細かい支援を進めること。</li> <li>研究不正防止の観点からは、研究公正関係者を支援した RIO ネットワークの取組を更に進めること。</li> </ul> <p>【対応状況】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>「研究データの質向上の指導者育成事業」を平成 30 年度から開始した。この事業の一環として行われた研修を受講した研究者の中から、データサイエンスに興味を持ちデータサイエンティストとして活躍する人材が出てくることが期待される。</li> <li>メールマガジンの毎週配信を継続中。平成 31 年 2 月 6 日に研究公正シンポジウムを開催。東京大学神里彩子准教授の提案により、同年 1 月 31 日及び 2 月 20 日に東京、3 月 20 日に大阪で分科会として「倫理審査委員教育実施に向けたワークショップ」を開催し、活発な情報交換・共有を行った。</li> </ul>		
--	--	--	--	--	--	--

注 5) 複数の項目をまとめて作成する場合には、適宜行を追加し、項目ごとに評定と評定に至った理由を明記。ただし、「主な評価指標」や「業務実績」欄については、複数の項目にまたがってまとめて記載することが可能

#### 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）

注 1) 重点化の対象としない項目については、法人の業務管理に活用しやすい単位ごとに、複数の項目をまとめて作成することが可能

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		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 2) 複数の項目をまとめて作成する場合には、適宜行を追加し、項目ごとに主要な経年データを記載

注 3) 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 4) 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

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及び主務大臣による評価					
中長期目標	中長期計画	年度計画	主な評価軸（評	法人の主な実績等・自己評価	主務大臣による評価

			価の視点)、指 標等	主な業務実績等	自己評価	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	再生医療の迅速な 実現に向けて、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、評価や課題管 理の改善強化のた めに、研究開発マ ネジメントチェッ ク項目の作成等に 取り組むとともに、 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、高品 質の iPS 細胞の樹 立方法の開発を行 い、安全性の高い 再生医療用 iPS 細 胞ストックの作製 を行う。また、幹細 胞操作技術等の実 用化に資する技術 の開発・共有のた めに、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	<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	<p>■ iPS 細胞の樹立方法の開発と iPS 細胞ストックの製作</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」(再生医療用 iPS 細胞ストック開発拠点、京都大学 CiRA) にて、2019 年 3 月に HLA 型日本人第 4 位・末梢血由来の iPS 細胞ストックの提供を開始した。既に提供を行っている iPS 細胞ストックと合わせると、日本人の約 40%をカバーできると考えられ、より広い患者さんを対象とした再生医療の提供が可能となった。</li> <li>・「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」(再生医療用 iPS 細胞ストック開発拠点)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 遺伝子を選択的に破壊することにより、他家移植の際にレシピエントのキラー T 細胞と NK 細胞の両方からの攻撃を回避し免疫拒絶反応を抑制する iPS 細胞を作製する技術を開発した。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。</li> <li>・京都大学 CiRA では、継続して、臨床用 HLA ホモ iPS 細胞ストック事業のための、ドナーリクルートを行った、</li> <li>・AMED では、京都大学 iPS 細胞研究所が作成する臨床用 iPS 細胞ストックについて有識者からヒアリングを行い、課題を抽出した。</li> </ul> <p>■ 幹細胞操作成技術等の実用化に資する技術</p> <p>【細胞を安定的に大量供給可能とする基盤技術】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・「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。</li> <li>・「再生医療等の産業化に向けた評価手法等の開発」において、日立製作所は、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</li> </ul>	<p>&lt;評定と根拠&gt;</p> <p>評定：A</p> <p>PDPSP0 による助言や交流会等による研究者同士のネットワークの形成、課題担当者の進捗管理・アドバイスによる橋渡し等、再生医療の迅速な実現を進めるための支援を行った結果、ヒト iPS 細胞由来ドパミン前駆細胞を用いたパーキンソン病患者を対象とした医師主導治験が開始されるなど、30 年度中に 11 件が臨床研究段階又は治験段階に移行しており、臨床研究・治験の実施が進んだ。また、iPS 細胞を活用した新規治療薬の探索について 3 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、製薬協と AMED の共催セミナーを行い、新たなプロジェクト運営の方法を構築した。さらに、研究交流会や公開シンポジウム等を通じてネットワーク形成、人材育成、患者・一般への情報発信を行うなど、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。</p> <p>【iPS 細胞の樹立方法の開発と iPS 細胞ストックの製作】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・HLA ホモ iPS 細胞ストックは日本人の 40%をカバーするところまで到達しており、目標とする 50%カバーを確実に遂行できる状態であることは大変評価でき</li> </ul>	評定

	<p>到達を目指す再生医療の基礎研究・前臨床研究を推進するとともに、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。</p>	<p>を行う。 再生医療の基礎研究・非臨床試験の推進等のため、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を行う。また、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の非臨床試験の支援等を行う。</p>		<p>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し、一号機を大日本住友製薬株式会社の再生・細胞医薬製造プラント（SMaRT）に納入した。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>「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。</li> </ul> <p>【高度培養技術の開発】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>「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、細胞の高度培養技術及び分化誘導法の開発を行っている。京都大学の長谷川特定拠点講師ら研究グループは、iPS 細胞等の培養において必須とされる2種類の成長因子に代わる低分子化合物を用いた合成培地を開発した。また大阪大学金准教授らの研究グループは、新規の低分子量ヘマグルチニン（ナノ HA）について、安定的な製造方法および安定性についての評価を行うとともに、逸脱細胞除去および HA 添加操作を伴う大量培養において、実用化に向けた実証試験を実施した。これらの技術により、培養工程の低コスト化・安定化が期待できる。さらに、大阪大学にて自動培養システム・自動凍結保存システム等に最適な凍結保護剤の開発として、塑性流体を用いた新規な保護剤の試作を行い、その有効性を検証した。</li> </ul> <p>■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</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>「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、慶応義塾大学医学部の岡野栄之教授は、慢性期の脊髄損傷モデルマウスに対して Notch シグナル阻害剤で前処理したヒト iPS 細胞から樹立した神経幹/前駆細胞の移植治療単独で、運動機能を回復・維持させることに成功した。また本神経幹/前駆細胞は、再生や運動機能回復が困難といわれる過酷な状況においても、軸索の再生・伸長が起こり、再髄鞘化も誘導することが明らかとなった。ヒト iPS 細胞由来神経幹/前駆細胞移植の臨床応用を実現させる上で、非常に大きな成果である。</li> <li>「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）では、これまでの iPS 細胞中核拠点の研究成果を臨床応用に展開するために重要となる基盤技術の推進・充足を図るため、iPS 細胞の分化特性、分化効率、ゲノム安定性などについて遺伝学的、発生学的見地から解明する</li> </ul>	<p>る。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>また、ゲノム編集という新たな技術を活用することにより、免疫拒絶反応を抑制する次世代の iPS 細胞に向けた新たな知見が得られたことについても評価できる。</li> </ul> <p>【幹細胞操作成技術等の実用化に資する技術】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>再生医療製品に対応した細胞製造プロセスにおいて、培養法、分化手法、輸送法、品質管理、システム構築等、多くの個別要素技術を創出、実用化し、再生医療関連の周辺産業の基盤構築に寄与した事は大変評価出来る。</li> <li>「再生医療等の産業化に向けた評価手法等の開発」では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いることは評価出来る。</li> <li>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、製品化に向けた培養技術等の開発が進んでいることは評価できる。</li> </ul> <p>【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】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>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。</li> <li>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</li> </ul>	
--	--	---	--	---	---	--

				<p>ことを目的とした「細胞特性」、HLA 一致／不一致の他家細胞移植における免疫拒絶反応について免疫学的見地から解明することを目的とした「移植免疫」、非臨床 POC（動物試験における有効性の検証、ヒト有効性予測）を確立することを目的とした「トランスレーショナル・リサーチ」の領域を新規公募として立ち上げ、公募した。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・「幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム」において、平成 30 年度に引き続き「若手研究者枠」を設けた。平成 31 年度分公募では新たに国際若手研究者育成枠を設定し国際的に活躍できる次世代の研究者の育成を目指した。審査には国際レビューを導入した。また、事業内交流会を会津若松市と協力して実施し、アウトリーチ活動として会津若松市の小・中学校で出張授業およびミニ公開シンポジウムを実施した。</li> </ul> <p>■造腫瘍性等に関する研究等の支援</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・「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。</li> <li>・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。 <ul style="list-style-type: none"> <li>➤ 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。</li> <li>➤ 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</li> </ul> </li> </ul>	<p>たことは高く評価できる。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・「再生医療ナショナルコンソーシアム」等において、再生医療に関する臨床研究支援の基盤の整備が着実に進んでいることは高く評価できる。</li> </ul>	
--	--	--	--	--	---	--

				<p>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。</p> <p>■再生医療研究基盤整備のための取り組み</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・「再生医療臨床研究促進基盤整備事業」の「再生医療ナショナルコンソーシアム」において、平成30年度には新たに31件の支援を行い、合計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が構築され、「認定再生医療等委員会教育研修会」は平成30年12月22日（東京）と平成31年1月13日（大阪）に開催された。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。</li> <li>・「再生医療ナショナルコンソーシアム」の再生医療等臨床研究データ登録システム（NRMD/CR）で、眼科関連研究について、契約者に対してデータを公開する準備が完了した。心筋領域研究及び骨領域研究については、レジストリー登録の準備が完了した。また、脳神経領域研究でも、レジストリー登録の検討が開始され、順次研究領域を増やす予定である。レジストリー登録については、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。</li> </ul>	
<p>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。</p>	<p>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</p>	<p>再生医療の臨床研究及び治験の推進のため、臨床応用に近い段階にあり、安全かつ有効な医療の実現の可能性が高い研究を支援するとともに、再生医療等確保法に従い実施する再生医療等の科学的評価の研究を進める。また、臨床研究等の実施に係る技術的支援や人材教育、データベース構築等も含め</p>	<p>&lt;評価軸&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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。</li> <li>・再生医療の実現化を支える産業基盤を構築したか。</li> </ul> <p>&lt;モニタリング指標&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・左記の評価軸に係る取組状況等</li> </ul>	<p>■再生医療の臨床研究及び治験の推進</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・「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。</li> <li>・「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。</li> </ul>	<p>【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】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・支援を行った研究が治験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。</li> <li>・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</li> </ul>

	<p>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。</p>	<p>た、臨床研究等の推進のための基盤を整備する。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への支援等を行う。再生医療等製品の安全性評価手法の開発については、原料等として利用する細胞の品質及び安全性を確保するため、評価項目の策定及び評価手法等の開発に向けた研究の支援等を行う。さらに、再生医療の実現化を支える産業基盤を構築するため、幹細胞関連技術の実用化によって関連産業をも含めた幅広い分野の産業発展につなげ、細胞培養等の関連装置の開発等を通じてその評価手法・指標等を明確化し、標準化の検討、国際標準化機構（ISO）での再生医療に関する検討につなげていく。</p>		<ul style="list-style-type: none"> <li>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。</li> <li>「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」で基礎研究を行った研究課題を臨床研究・治験の段階に円滑に移行することを目的として、臨床移行に必要な準備等をまとめた「再生医療研究事業のマネジメントに関するチェック項目」を作成し、平成 30 年 5 月の AMED 理事会議・部長会議で承認された。「再生医療実用化研究事業」における採択時の評価及び進捗管理に活用した。</li> <li>平成 30 年 7 月に、「製薬協・AMED 共催セミナー『花開け！再生医療のシーズ』」を開催し、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べく、その準備として、企業と研究者のマッチングを行った。</li> </ul> <p>■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</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>「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。</li> </ul> <p>■再生医療等製品の安全性評価手法の開発</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>再生医療における品質・安全性評価手法の開発に向けた取組みとして、医薬品等規制科学課の医薬品等規制調和・評価研究事業と連携しながら、「再生医療研究における品質及び安全性の評価に係る調査研究」（平成 28 年度～平成 30 年度）の研究課題を実施した。本研究では、再生医療研究課が所管する 4 事業の 144 課題から抽出したデータをもとに調査研究を実施し、成果を研究課題にフィードバックし、課題管理に活用している。</li> </ul> <p>■再生医療の実現化を支える産業基盤の構築</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>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</li> </ul>	<p>強化につながる。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>産業化の課題の一つであ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で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。</li> <li>再生医療シーズの産業化が加速するために、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出来るようと問えていることは評価出来る。</li> </ul>	
--	--	---	--	--	---	--

				<p>を議論する有識者からなる検討委員会を設置し、3回委員会を開催し、細胞取得のために必要なIC等、優先項目について議論した。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>「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实用化のための基盤整備が促進されることが期待される。</li> </ul> <p>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。 <li>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。</li> <p>■国際標準化機構（ISO）での再生医療に関する検討</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>「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、引き続き、細胞製造システムに関連するISO/TC276/WG4（Bioprocessing）及びISO/TC198/WG9（Aseptic processing）への参画を継続し、それぞれCell Manufacturability及び無菌インターフェイス等、日本発提案を日本主導でステージを進めた。</li> </ul> </p>		
<p>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。</p>	<p>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</p>	<p>一方、新薬開発の効率性の向上を図るため、病態分析、創薬等に用いる細胞の作製に向け、様々な疾患の患者ボランティアからの検体をもとに疾患特異的iPS細胞を樹立する研</p>	<p>&lt;評価軸&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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。</li> </ul> <p>&lt;モニタリング指標&gt;</p>	<p>■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</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」（疾患特異的iPS細胞の利活用促進・難病研究加速プログラム）において、慶應義塾大学医学部 岡野栄之教授は、筋萎縮性側索硬化症（ALS）の患者さん由来の組織から樹立したiPS細胞（疾患特異的iPS細胞）を用い、革新的なドラッグスクリーニング手法により同定された治療薬候補であるロピニロール塩酸塩の安全性・有効性を評価するために第I/IIa相医師主導治験を開始した。</li> <li>「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」（疾患特異的iPS細胞の利活用促進・難病研究加速プログラム）において、慶應義塾大学医学部 岡</li> </ul>	<p>【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】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・創薬研究やドラッグスクリーニングに疾患特異的iPS細胞が用いられ、医師主導治験が開始されたことは高く評価できる。</li> </ul>	

	<p>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。</p>	<p>究の推進と共に疾患特異的 iPS 細胞の品質管理・供給体制・ルール作り等の基盤構築をはかり、これらの細胞を用いた難病・希少疾病等の原因解析や創薬等に係る研究を推進する。また、幹細胞の創薬応用の促進を図るため、iPS 細胞等から分化誘導した各種臓器の細胞を応用し、医薬候補品の薬物動態や安全性の評価基盤技術開発支援も行う。</p> <p>&lt;今後の課題&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>研究開発成果の最大化に向けて、事業内連携、事業間連携のさらなる強化に取り組む。特に、機構の規制科学・臨床研究支援室との連携を密にし、着実に進める。</li> </ul>	<p>・左記の評価軸に係る取組状況等</p>	<p>野栄之教授は、難聴やめまい、甲状腺腫を引き起こす遺伝性の病気で希少難治性疾患の一つである Pendred 症候群に対して、患者さん由来の iPS 細胞を用いて生体外で疾患病態を再現することによって創薬研究を行ってきた。本研究において疾患動物モデルを用いることなく、iPS 創薬から得られた知見にもとづき治験を開始することとなった。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」(疾患特異的 iPS 細胞の活用促進・難病研究加速プログラム) では、「バンク活用促進課題」(理化学研究所バイオリソースセンター) に、拠点等から疾患特異的 iPS 細胞等の寄託を受けるバンクの運営体制を構築し、平成 30 年度は 42 患者由来の 22 疾患、95 株の寄託を受け、60 疾患、178 株を提供した。</li> </ul>		
--	--	--	------------------------	---	--	--

<p>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。</p>	<p>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。</p>	<p>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を開発するための基準設定の研究を推進し、ICH ガイドラインの改訂に向けて国際標準化に対応するための議論を進める。</p>	<p>&lt;評価軸&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・ 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。</li> </ul> <p>&lt;モニタリング指標&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・ 左記の評価軸に係る取組状況等</li> </ul>	<p>■ 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</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・ FDA らとともに行った国際検証試験により、ヒト iPS 細胞由来心筋細胞を用いて医薬品による致死性不整脈の発生リスクを評価できることを明らかにし、その有用性を示した論文が受理された。ワシントン DC で開催された国際安全性薬理学会（平成 30 年 10 月 1 日）における心毒性シンポジウムで発表、提案し、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。</li> <li>・ 本研究班については適宜情報共有を行い事業間連携に取り組んだ。</li> </ul>	<p>【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】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・ 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る。</li> </ul>
<p>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。</p>	<p>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。</p>	<p>さらに、幹細胞を用いた創薬スクリーニングシステムの開発等への支援を行い、創薬支援の実現化を支える技術基盤の構築を推進する。</p>	<p>&lt;評価軸&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・ 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。</li> </ul> <p>&lt;モニタリング指標&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・ 左記の評価軸に係る取組状況等</li> </ul>	<p>■ 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</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・ 「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」（疾患特異的 iPS 細胞の利活用促進・難病研究加速プログラム）では、「バンク活用促進課題」（理化学研究所バイオリソースセンター）に、拠点等から疾患特異的 iPS 細胞等の寄託を受けるバンクの運営体制を構築し、平成 30 年度は 42 患者由来の 22 疾患、95 株の寄託を受け、60 疾患、178 株を提供した。</li> <li>・ 「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。</li> </ul>	<p>【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】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・ 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。</li> <li>・ 「再生医療技術を応用した創薬支援基盤技術の開発」では、ユーザーとなる製薬企業のニーズを抽出し、開発へフィードバックできる体制を構築すると共に、デバイスやデバイスに搭載する iPS 細胞由来の各種臓器細胞製造、培養モデル等各種技術開発の有機的連携を図ったことは評価出来る。</li> </ul>

<p>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、</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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）</li> <li>・再生医療等製品の薬事承認数の増加</li> <li>・臨床研究又は治験に移行する対象疾患の拡大35件</li> <li>・再生医療関係の周辺機器・装置の実用化</li> <li>・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。</li> </ul>	<p>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、</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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）</li> <li>・再生医療等製品の薬事承認数の増加</li> <li>・臨床研究又は治験に移行する対象疾患の拡大35件</li> <li>・再生医療関係の周辺機器・装置の実用化</li> <li>・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。</li> </ul>	<p>—</p>	<p>＜評価指標＞</p> <p>【2020年までの達成目標】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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）</li> <li>・再生医療等製品の薬事承認数の増加</li> <li>・臨床研究又は治験に移行する対象疾患の拡大 35件</li> <li>・再生医療関係の周辺機器・装置の実用化</li> <li>・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</li> </ul> <p>＜モニタリング指標＞</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・応募件数及び採択件数</li> <li>・事業に参画している研究者延べ人数</li> <li>・PMDAへの薬事戦略相談を行った研究開発課題数</li> <li>・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</li> </ul>	<p>■医療分野研究開発推進計画 達成すべき成果目標（KPI）</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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）： iPS細胞技術を活用して作製した新規治療薬の臨床応用の状況： 慶應義塾大学医学部生理学教室の岡野栄之教授らが作成した疾患特異的iPS細胞を用いた創薬応用技術により、2件の治験が開始された。①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による、Pendred症候群に対する、シロリムスの治験の実施。②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による、ALSへのロピニロール塩酸塩の治験の実施。 ③京都大学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。</li> <li>・再生医療等製品の薬事承認数： ①条件・期限付承認として12月28日にヒト（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。 ②12月28日にヒト（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）の「表皮水疱症」の適応が追加され、累計で、5品目、7対象疾患が承認された。</li> <li>・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、11件（対象疾患数：10疾患）が臨床研究又は治験に移行し、対象疾患が拡大した。 （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</li> <li>・再生医療関係の周辺機器・装置の実用化の状況： リプロセスは、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。尚、本製品はフィーダー（iPS細胞の培養・維持を支持する働きをする細胞）を用いない拡大培養および分化誘導にも使えることが確認されている。</li> </ul>		
---	---	----------	--	--	--	--

					<p>・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：  FDA らとともに行った国際検証試験により、ヒト iPS 細胞由来心筋細胞を用いて医薬品による致死性不整脈の発生リスクを評価できることを明らかにし、その有用性を示した論文が受理された。  ワシントン DC で開催された国際安全性薬理学会（平成 30 年 10 月 1 日）における心毒性シンポジウムで発表、提案し、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。</p> <p>・応募件数及び採択件数：平成 30 年度 265 件及び 65 件  累積 786 件及び 2,255 件</p> <p>・事業に参画している研究者延べ人数：平成 30 年度 900 人  累積 3,100 人</p> <p>・PMDA への薬事戦略相談を行った研究開発課題数：平成 30 年度 27 件  累積 133 件</p> <p>・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：  平成 30 年度 55 件  累積 169 件</p> <p>&lt;平成 29 年度実績に係る外部評価委員会における指摘事項&gt;</p> <p>■指摘事項</p> <p>・将来の研究開発の発展のために、若手研究者の育成を更に推進すること。</p> <p>【対応状況】</p> <p>平成 31 年度 「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）」の公募において、国際若手研究者育成枠を設定し、研究開発分担者の若手研究者を研究開発期間内に 1 か月以上海外派遣することを必須とする等、国際的に活躍できる次世代の研究者を育成するようにした。</p> <p>■指摘事項</p> <p>・国際戦略の推進の面では、海外事務所の活発な活動により更なる国際連携を進めているが、国際レビューアの導入を契機として、より質の高い国際共同研究の取組を進めること。</p> <p>【対応状況】</p> <p>・平成 31 年度 「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）」の公募において、国際若手研究者育成枠を設定し、研究開発分担者の若手研究者を研究開発期間内に 1 か</p>		
--	--	--	--	--	---	--	--

					<p>月以上海外派遣することを必須とする等、国際的に活躍できる次世代の研究者を育成するようにした。その際に、国際レビューア（外国の研究機関に所属する研究者等）による査読を設け、面接対象選考会議時の参考資料として活用した。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・シンガポール科学技術研究庁 A*STAR とさらなる連携強化を図るため、シンガポール事務所の協力の下、国際事業部との適切な事前調整で決定された「細胞治療」をテーマに、2月26-27日にワークショップを開催した。</li> </ul> <p>■指摘事項</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・医療イノベーションの創出に向け、データシェアリングや広域連携・分散統合という概念が極めて重要となっている。また、汎用・基盤的な大型機器の共用も、共同研究の推進や融合領域の開拓等を通じてイノベーションに大きく貢献するものである。これまでに、機構のイニシアティブにより IRUD や複数の学会による異なるモダリティの画像データベースの取組、あるいは低温電子顕微鏡ネットワーク等によってその端緒が開かれてはいるが、今後、データの統合・共有化や、汎用・基盤的な大型機器の共用促進を、研究機関全体に広げていく取組を進めること。</li> </ul> <p>【対応状況】</p> <p>再生医療等臨床研究データ登録システム (NRMD/CR) で、眼科関連研究について、契約者に対して課金にて、データを公開する準備が平成 30 年秋に完了した。その後骨領域研究については、レジストリー登録の準備が完了した。</p> <p>&lt;平成 29 年度主務大臣による評価を踏まえた課題&gt;</p> <p>■指摘事項</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・引き続き、iPS 細胞ストックの供給体制の構築に向けて、品質管理体制等の一層の強化を図っていく必要がある。</li> </ul> <p>【対応状況】</p> <p>CiRA においては、製造方法の改善や教育訓練強化など品質の向上を図る取組みを実施した。</p> <p>また、AMED において、iPS 細胞ストックの供給体制のあり方に関する勉強会を 9 月～11 月に計 3 回実施し、議論した。具体的には、CiRA における、製造方法の改善や教育訓練強化など品質の向上を図る取組みの継続を確認した。また、供給先機関からは株間のばらつきや使用のための手続きの煩雑さ等の課題が挙げられ、CiRA 側が今後改善していく事を確認した。</p> <p>■指摘事項</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・「再生医療実用化研究事業」においては、「再生医療実現プロジェクト」に基づき、文部科学省事業での推進により、非臨床段階から臨床段階へ移行した課題について、切れ目なく支援を行い、引き続き臨床研究等を推進していく必要がある。</li> </ul>		
--	--	--	--	--	--	--	--

				<p><b>【対応状況】</b> 臨床段階に移行するために必要なデータ、規制等を取りまとめた「再生医療研究事業のマネジメントに関するチェック項目」を平成 30 年 6 月に完成させ、平成 31 年度再生医療実用化研究事業」の公募において本チェック項目を臨床研究等への移行準備状況の確認に活用し、臨床研究等への移行課題の選定に活用した。</p> <p><b>■指摘事項</b> ・他事業との連携により、疾患特異的 iPS 細胞を活用した創薬研究を推進するとともに、寄託した iPS 細胞の利活用を促進するよう、iPS 細胞の付随情報等基盤の充実を図る必要がある。</p> <p><b>【対応状況】</b> ・再生医療研究課で支援してきた研究課題で作成した疾患特異的 iPS 細胞を活用した創薬支援技術をもとに、臨床研究課や難病研究課で支援する研究課題で医師主導治験を開始した(慶應大学「Pendred 症候群の難聴・めまいに対するシロリムス少量療法」、及び「筋萎縮性側索硬化症 (ALS) に対するロピニロール塩酸塩 (本治験薬)」、京都大学 iPS 細胞研究所「筋萎縮性側索硬化症 (ALS) 患者を対象としたボスチニブ第 1 相試験」)。 ・理研 BRC にて、疾患特異的 iPS 細胞の利活用促進をはかるため、AMED 再生医療研究交流会や薬理学会等で、バンクについての紹介を行うとともに、AMED 支援課題において寄託する株については臨床情報を付けた。また、3 月末までに CiRA から健常人 25 人分の iPS 細胞 (三胚葉分化能を含めた基本品質評価項目情報を付随) が理研 BRC に寄託されることとなった。</p> <p><b>■指摘事項</b> ・「再生医療臨床研究促進基盤整備事業」においても、再生医療を推進する医療機関等への更なる支援を期待していることから、引き続き進捗管理等を適切に進める必要がある。</p> <p><b>【対応状況】</b> 平成 30 年 4 月に、PDPSP0 及び評価委員が同席のもと、進捗管理のためのステアリングコミティを開催した。平成 30 年 12 月にも第 2 回ステアリングコミティを開催し、事業全体の進捗状況の確認を行った。</p> <p><b>■指摘事項</b> ・造腫瘍性試験の国際標準化には、厚生労働省・PMDA が医薬品規制調和国際会議や国際薬事規制当局プログラム等で規制当局間の調整を行うことが必要であり、厚生労働省や PMDA 等を通じて関係各局との連携を更に密にしていくことが必要である。</p> <p><b>【対応状況】</b> 平成 30 年 7 月及び平成 31 年 3 月 19 日に厚生労働省、PMDA 立会いのもと、医薬品等規制科学課の医薬品等規制調和・評価研究事業と再生医療実用化</p>		
--	--	--	--	---	--	--

				<p>研究事業で連携して支援している研究課題「細胞加工製品の造腫瘍性評価に関する多施設共同研究」関係者による全体会議を行った。また本課題では、予備試験の結果を踏まえて試験プロトコルの見直しを行い、本試験を実施した。</p> <p>■指摘事項</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・iPS細胞技術を応用した心毒性評価手法については、引き続きCiPA運営委員会等に参加して国際的な議論を引き続き行うとともに、評価法の国際標準化に向けて取組を強化することが必要である。</li> </ul> <p>【対応状況】</p> <p>平成30年度から、「ヒトiPS分化細胞技術を応用した医薬品の心毒性評価法の開発と国際標準化に関する研究」を開始した。その活動中で、平成30年10月1日にワシントンDCで開催された国際安全性薬理学会にて心毒性シンポジウムでJiCSAとCiPAのiPSデータの比較結果を発表、提案し、国際的な議論を行った。</p>		
<p>業務を通じた医療分野の研究開発に関する研究不正の防止に関するノウハウの蓄積及び専門的な人材の育成に努める。</p>	<p>また、研究倫理教材による研究者に対する研究開発活動の不正行為の防止に係る啓発活動等の取組により、ノウハウを蓄積するとともに、専門的な人材の育成に取り組むことで、研究開発活動の不正行為の防止の取組を強化する。さらに、研究費の配分機関として、「研究活動における不正行為への対応等に関するガイドライン」(平成26年8月文部科学大臣決定)等に則って、不正行為の疑惑が生じた際等に適切に対応する。</p>	<p>また、研究機関の人材育成に関する支援、AMEDからの研究資金の配分を受けている研究機関の研究公正関係者が情報交換できる場であるRIOネットワークを通じての積極的な情報交換等、研究機関との連携・協力体制を構築するとともに、引き続き研究開発活動の不正行為の防止に関するノウハウの蓄積を図る。</p>	<p>&lt;評価軸&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・業務を通じた医療分野の研究開発に関する研究不正の防止に関するノウハウの蓄積及び専門的な人材の育成に努めたか。</li> </ul> <p>&lt;評価指標&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・研究不正の防止に関するノウハウの蓄積、専門的な人材育成の取組状況</li> </ul> <p>&lt;モニタリング指標&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・研究不正防止に係る外部向け説明会、展示会等開催回数及び参加者数</li> </ul>	<p>■研究倫理教育プログラムの履修と利益相反管理</p> <p>【研究倫理教育プログラムの履修】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・国のガイドラインに基づき、不正行為等を事前に防止する取組の一環として、機構の所管する研究費により行われる研究活動に参画する研究者全員を対象に、研究倫理教育プログラムの履修を義務付け、ホームページにて公表している。</li> </ul> <p>【利益相反管理】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・研究の実施にかかる体制整備の一環として、各研究開発課題における利益相反管理の状況の報告を研究開発代表者及び研究開発分担者に求めた。</li> <li>・平成30年度末で経過措置が終了となるため、小規模な企業や病院でも利益相反管理が実施可能となるよう規則を改正した。平成31年度以降の円滑な適用が図られるよう、研究者において適切な運用がなされるようにFAQなどを充実させるなど周知に努めた。</li> </ul> <p>■ノウハウ蓄積と専門的な人材育成の取組</p> <p>【研究機関・研究者の意識の底上げのための取組】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・研究機関における研究不正未然防止の強化や研究公正の高度化を図ることを目的として教育教材等の作成及び研究公正の取組強化のための調査研究を進めた。</li> <li>・特に、「研究倫理教育に関するモデル教材・プログラム等の開発」は、研究現場での研究倫理教育に関するニーズを踏まえた目的・内容の提案を、公募により受け付けて教育研修教材等を開発するという特徴ある事業であり、平成30年度が最終年度であるため、本事業において作成された教材等をAMEDのHPで公開した。また、平成31年2月6日に「研究公正シンポジウム 平成28年度研究公正高度化モデル開発支援事業成</li> </ul>	<p>【研究倫理教育プログラムの履修と利益相反管理】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・機構の事業に参加する研究者に対する研究倫理教育プログラム履修の義務付け、研究機関における利益相反管理規則を受け、FAQなどを充実させ、運用を図ったことは評価できる。</li> </ul> <p>&lt;今後の課題&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・研究倫理教育プログラムの履修状況及び利益相反管理状況の報告について、AMEDへの報告方法などの運用を改善し、これら研究機関等へ適切な周知を行う。</li> </ul> <p>【ノウハウ蓄積と専門的な人材育成の取組】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・研究不正未然防止の強化や研究公正の高度化を目的とした教育教材の作成等事業、研究公正責任者など約900機関、約2,500名がメンバーのRIOネットワークの公開を受け、本年度は規模の拡大を図ったことは評価でき</li> </ul>	

				<p>果報告会」を開催し、関係者に研究成果を紹介する機会を設けた。一般参加者は199名であった。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・将来の研究開発の発展及び非臨床研究の研究データの質向上のため、研究現場での研究データの質向上指導者を育成する教育プログラムを開発し、全国各地で研修会を開催して指導者を育成する「研究データの質向上の指導者育成プログラム開発事業」の初年度にあたり、平成30年5月15、16日にエジンバラ大学の研究データの専門家を招聘してキックオフミーティングを開催し、また平成30年11月26日にプログラム方針に対する助言を頂くためのアドバイザーボード会議を開催した。研究支援者に対してもきめ細かい支援を進め、この研修を受講した研究者の中から、データサイエンスに興味を持ちデータサイエンティストとして活躍する人材も出てくることが期待される。</li> <li>・RIO (Research Integrity Officer: 研究公正責任者の略研究機関の研究公正関係者) は、組織内において、連携・協力関係が希薄な存在になりがちなど、AMEDがそのような立場の者を横断的に結びつけ、気軽に情報交換ができる場を提供すべく、平成29年7月に『RIOネットワーク』を構築した。同年9月から毎週メールマガジンを配信しており、本年度も実施した。(平成31年3月末の登録機関数: 約900機関、約2,500名)。</li> <li>・RIOネットワークの構築により、研究公正に関する諸情報が研究公正責任者等に速やかに伝達できるようになった。また、RIOネットワークシンポジウムの資料及び動画等の公開や、研究公正高度化モデル開発支援事業における教材及び教育プログラムの作成状況を周知した結果、速やかな閲覧や利用が図られた。結果、RIOネットワークの構築とシンポジウムの開催の相乗効果により、研究倫理責任者等の知識・能力の向上のための研究倫理教育教材の普及が進められた。</li> <li>・RIOネットワークメンバーの提案により、分科会として「倫理審査委員教育実施に向けたワークショップ」を平成31年1月30日と2月20日に東京で、3月20日に大阪で開催した。参加者は3会場で113名であり、参加者は倫理審査委員会委員の教育の実施方法を学ぶとともに、今後参加者同士で情報共有・交換ができる関係が構築された。</li> <li>・臨床研究法や研究倫理指針を適用して実施される研究開発に携わる者(研究者、倫理審査委員会の委員、及び事務局員、研究倫理コンサルタントなど)に、機構の研究倫理に関する諸情報等を集約して、わかりやすく提供するための、「研究倫理ホームページ」を平成30年5月に公開した。</li> <li>・研究不正防止の観点からは、研究公正関係者を支援したRIOネットワークの取組を更に進めるため、メールマガジンの毎週配信を継続するとともに、文部科学省研究公正推進事業の一環として「双方向型の研究倫理教育プログラム」向けの教育教材として、主に医療分野の研究開発における不正行為等の事例集「事例から学ぶ公正な研究活動～気づき、学び</li> </ul>	<p>る。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・研究倫理に関する情報提供のためのホームページ公開及びケースブックの「考え方例集」の作成等を実施したことは評価できる。また、他法人との連携も含めた各種セミナー、シンポジウムを通して、参加者の意識の底上げに寄与することができたことが評価出来る。</li> </ul> <p>&lt;今後の課題&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・研究不正の防止に関するノウハウの蓄積、専門的な人材育成の取組に資するRIOネットワークは、2019年度はトピックス等に応じた小規模な分科会的な活動をさらに活発化させる。またメールマガジンの配信サービスも、一方的な情報発信ではなく、双方向の情報交換となるよう充実を図るとともに、ケースブックの普及も継続して進める。</li> </ul>	
--	--	--	--	---	--	--

					<p>のためのケースブック～普及版」を平成30年3月に刊行し、平成30年4月以降、RIOネットワークなどを通じて約2,400部を配布した。また、PDF版を6月にAMEDの研究公正のHPで公開した。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・研究倫理教育の講師やファシリテーターの経験が浅い人にも上記のケースブックを活用していただけるように、ケースブックに記載されている「設問」に対する標準的な考え方をまとめた「考え方例集」を平成30年度に編集し、平成31年3月に刊行した。4月以降にRIOネットワークなどを通じて配布する予定である。</li> <li>・「資金配分機関部会」(平成30年10月)を開催し、資金配分機関における研究公正情報の共有やRIOネットワーク等の共同で実施する研究公正事業の連絡調整を行った。また、「打合せ会」(同年12月)を開催し、研究公正事象の連携・推進の観点から、研究公正情報の共有、各事業の連絡調整を行った。</li> </ul> <p>【セミナー、シンポジウムの開催】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・平成30年12月5日に、東京で、12月13日に大阪で研究公正セミナー『専門家から見た研究データ ～不適切な処理はすぐにわかります～』を開催した。2名の講師の講演及び総合討論があり、参加者は2会場で148名だった。</li> <li>・平成30年12月7日に、日本生命倫理学会第30回年次大会主催、AMED共催で『研究公正シンポジウム 研究倫理教育の課題と展望』を京都で開催した。基調講演とパネルディスカッションを行い、参加者は95名だった。</li> </ul> <p>&lt;モニタリング指標&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・研究不正防止に係る外部向け説明会、展示会等開催回数及び参加者数 説明会等：8回、1,431名 シンポジウム等（共催含む）：8回、578名 計16回、2,009名</li> </ul> <p>&lt;平成29年度年度評価、外部評価委員会における指摘事項の対応状況&gt;</p> <p>■指摘事項</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・将来の研究開発の発展のために、データサイエンティスト等の研究支援者に対してもきめ細かい支援を進めること。</li> <li>・研究不正防止の観点からは、研究公正関係者を支援したRIOネットワークの取組を更に進めること。</li> </ul> <p>【対応状況】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・「研究データの質向上の指導者育成事業」を平成30年度から開始した。この事業の一環として行われた研修を受講した研究者の中から、データサイエンスに興味を持ちデータサイエンティストとして活躍する人材</li> </ul>		
--	--	--	--	--	---	--	--

				<p>が出てくることが期待される。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>メールマガジンの毎週配信を継続中。平成 31 年 2 月 6 日に研究公正シンポジウムを開催。東京大学神里彩子准教授の提案により、同年 1 月 31 日及び 2 月 20 日に東京、3 月 20 日に大阪で分科会として「倫理審査委員教育実施に向けたワークショップ」を開催し、活発な情報交換・共有を行った。</li> </ul>		
--	--	--	--	--	--	--

注 5) 複数の項目をまとめて作成する場合には、適宜行を追加し、項目ごとに評定と評定に至った理由を明記。ただし、「主な評価指標」や「業務実績」欄については、複数の項目にまたがってまとめて記載することが可能

4. その他参考情報
特になし。



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・治療法の開発 (2020年頃まで)												
---	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--

注2) 複数の項目をまとめて作成する場合には、適宜行を追加し、項目ごとに主要な経年データを記載

注3) 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4) 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	年度計画	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	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	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	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。疾患バイオバンクに関し、オーダーメイド医療の実現プログラムでバイオバンク・ジャパンが、3大バイオバンクの一角として、今までに蓄積された試料、臨床情報、ゲノムデータの利活用促進を	<p>&lt;評価軸&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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。</li> </ul> <p>&lt;モニタリング指標&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・左記の評価軸に係る取組状況等</li> </ul>	<p>■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）</p> <p>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</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・同意に基づき宮城県・岩手県の住民から生体試料及び健康情報（調査票）を収集するコホート調査を行い、これら試料・情報を広く全国の研究者の医学研究への利活用のために提供するバイオバンクを構築している。</li> <li>・平成29年度からは参加者に対する追跡・詳細二次調査を開始しており、平成30年度は宮城県では地域住民と三世成人・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、計画通り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）</li> <li>・試料・情報分譲について、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ケンサー解析によるゲノム配列情報、試料、血液・尿検査情報等の分譲や、平成30年3月に岩手県地域住民8300人分の生体試料、生理機能検査情報等の分譲受付を開始により、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件が承認された。また、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VPN拠点を整備しており、平成30年度末までに累計19拠点の遠隔セキュリティーームから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。</li> </ul>	<p>&lt;評価と根拠&gt;</p> <p>評価：A</p> <p>臨床ゲノム情報統合データベース整備事業、ゲノム創薬基盤推進研究事業を通じ、今年度からがんゲノムにつながるがんオンコパネルの開発や医薬品の製造販売承認の取得等が実現し、臨床ゲノム情報統合データベース(MGeND)への日本人集団の疾患関連変異データの蓄積、東北メディカル・メガバンク計画による日本人基準ゲノム配列(JRGA)等の公開やゲノム情報等の公開が進むとともに、データシェアリングポリシー適用事業拡大とゲノム医療データのグローバルシェアリングに向けた国際活動への新規参画など、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、医療実装の創出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</p>	評価		

<p>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る。</p>	<p>被災地の住民の協力を得て、生体試料や臨床情報等を収集する。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。</p>	<p>図る。</p> <p>健常者バイオバンクに関し、前年度までに生体試料、健康情報等を収集した約15万人の住民を対象に、追跡調査及び詳細二次調査を実施し、健康調査の結果の回付等を通じて東日本大震災被災地住民の健康不安の解消に貢献する。また日本人の標準ゲノム配列の特定を進めるために、協力者から提供された生体試料を用いて全ゲノム解析を行う。</p> <p>ゲノム医療実現を推進するためのプラットフォーム構築に関し、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すため、機構に設けたゲノム医療研究支援機能により様々な研究支援を行う。この一環として、バイオバンク試料の利活用促進に向けた取組を継続する。また、生活習慣病リスク等に関連する疾患</p>		<p><b>ゲノム医療研究のための基盤構築と提供</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>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ている。平成30年度はこれまで全ゲノム解析に広く利用されてきた国際標準ゲノム配列の問題点を根本的に解決した日本人基準ゲノム配列(JRGA)の初版となるJG1構築に成功し、2月に公開した。前バージョンJRGv2に比べ月平均DL率が約660%upするなど反響も大きく、これにより日本人全ゲノムリファレンスパネルの精度向上、がんゲノム解析、さらには日本人特有の疾患感受性や薬剤感受性に寄与するゲノム配列変化の解明などが大きく進展することが期待できる。</li> <li>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30年度は6月にX染色体・ミトコンドリアゲノム上の200万個を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、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、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、3.5KJPNv2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。</li> <li>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実施しており、平成30年度は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。</li> </ul> <p>■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)</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>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ている。(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)</li> <li>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</li> </ul>	<p>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。</p> <p><b>【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】</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>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・詳細二次調査の実施、生体試料・健康情報の分譲等、日本人全ゲノムリファレンスパネルをX染色体・ミトコンドリアゲノム上のSNVやIndel頻度情報等を拡充した3.5KJPNv2のリリース、日本人のゲノム研究ツールとして欠くことのできない日本人基準ゲノム配列JG1の公開など計画を着実に実施した点は高く評価できる。</li> </ul> <p><b>【患者のバイオバンクの構築】</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>疾患バイオバンクとして、試料・情報の分譲数が、従来の実績を大きく上回っており、バンクの利活用の促進を通じて、疾患の発症原因や薬剤反応性等の関連遺伝子の同定・検証に貢献できたことは評価できる。</li> </ul> <p><b>【ゲノム研究プラットフォームの構築】</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>データシェアリングポリシーの拡大や国際的なデータシェアリングの推進に取り組むとともに、3大バイオバンク等の新たな連携、研究者間の情報共有の促進、ELSIに関する活動を一層進めており、ゲノム解析情報</li> </ul>	
--	--	---	--	---	---	--

		<p>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。これらの研究成果に紐づくゲノムデータ、及び臨床情報や解析・解釈結果等を含めたゲノム情報の、迅速、広範かつ適切な共有・公開を行うことを目的として、データシェアリングを推進する。</p>	<p>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)</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>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。</li> </ul> <p>■ゲノム研究プラットフォームの構築</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>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、次の各種取組を行った。</li> </ul> <p><u>データシェアリングの推進</u></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>データシェアリングポリシーの適用事業の拡大(従前の「疾患克服に向けたゲノム医療実現プロジェクト」、「難病克服プロジェクト」に加え、「脳とこころの健康大国実現プロジェクト」、「新興・再興感染症制御プロジェクト」、及び肝炎等克服実用化研究事業、エイズ対策実用化研究事業に適用事業を拡大)に取り組むとともに、科学技術振興機構(JST)との基本連携協定等を通じ、東北メディカルメガバンク機構やバイオバンクジャパン等の全ゲノム解析データの合同解析の検討を進める等、各種協力活動を進めた。さらに、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として扱う AGD (AMED Genome group sharing Database) の運用を進めた。さらに、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供用等も継続し、ゲノム情報の利用促進を引き続き行った。</li> <li>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 &amp; Health) との協力関係を強化した。具体的には、オーダメイド・ゲノム医療に関わる各種事業を「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。</li> </ul> <p><u>バイオバンクの連携</u></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>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、平成 30 年度に、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)</li> </ul>	<p>及び臨床情報等を含めたデータ解析を実施していく上で必要な基盤がさらに整備されたことは評価できる。</p> <p>【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】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>今まで発見できなかった疾患原因、新規薬剤、日本人特異的な変異領域等を発見するなど、疾患関連遺伝子・薬剤関連遺伝子の同定が順調に推進したことは評価できる。</li> </ul>	
--	--	---	---	--	--

					<p>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。</p> <p><u>研究者間の情報共有の促進</u></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・研究基盤と研究者をつなぐために開設した、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引き続き運用した。</li> <li>・バイオバンクと研究者が一堂に会したバイオバンク連絡会によるコミュニティーのネットワーク形成を進めている。</li> </ul> <p><u>ELSIに関する活動</u></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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」の推進の一環で、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設定した「先導的 ELSI 研究プログラム」では、平成 28 年度採択の 1 課題にて研究開発を実施した。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）」3 課題の研究開発を実施した。</li> </ul> <p>■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</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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。</li> <li>・今まで疾患原因となるゲノム変異が発見できなかった家族性ミオクローヌスてんかん罹患者の疾患関連遺伝子において、新規の構造異常が本疾患の原因として同定された。</li> <li>・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。</li> <li>・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。</li> <li>・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</li> </ul>		
--	--	--	--	--	---	--	--

				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。	難治性・希少性疾患やがん疾患等の原因遺伝子の探索を図るため、患者に対してゲノム解析を行いながら、その情報を集積するデータベースを構築するとともに、国際連携の推進にも留意した運営を行う。	<p>&lt;評価軸&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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。</li> <li>・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。</li> </ul> <p>&lt;モニタリング指標&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・左記の評価軸に係る取組状況等</li> </ul>	<p>■難治性・希少性疾患等の原因遺伝子の探索</p> <p>臨床ゲノム統合データベース整備事業により平成 30 年度には、次の成果が見られた。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・次世代シーケンサーを駆使したゲノム解析において、これまでに豊富な実績を有する難病研究拠点班全 6 班と、成人及び小児の IRUD 研究班が協力・協調し、さらに、全国遺伝子診療部門連絡会議に属する全国の大学病院・高度先進医療機関と緊密に連携することにより、希少・難病領域におけるオールジャパンの研究組織を構築し、その体制のもとに難治性・希少性疾患等の原因遺伝子の探索を行った。1,029 件のクリニカルシーケンスを行い、302 例の確定診断、院内の遺伝カウンセリング実施件数は 160 件を超えた。</li> <li>・非典型症例については、先天異常症候群・ヒストン修飾因子異常症・循環器疾患・腎疾患・ミトコンドリア疾患・肝疾患・神経疾患・原発性免疫不全症、小児遺伝性疾患、耳鼻科疾患、眼科疾患等の各分野を網羅し、日本免疫不全・自己炎症学会、日本臨床視覚電気生理学学会・日本緑内障学会・日本網膜色素変性協会、小児遺伝学会・日本先天異常学会の支援を得て、幅広い遺伝性稀少疾患の患者の研究参加を促した。7,684 件のクリニカルシーケンスを実施するとともに、新たな解析アルゴリズムを導入することによって、体細胞モザイク、微小欠失・重複、片親性ダイソミーの検出範囲を拡大し、非典型例の診断率の向上に寄与した。</li> </ul> <p>■臨床ゲノム情報統合データベースの整備</p> <p>臨床ゲノム情報統合データベースについて、平成 30 年度に次の進展が見られた。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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ーション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、日本人の疾患感受性バリエーション情報を全世界に公開している。各疾患領域の研究班より計画を上回るデータ登録があった。 <ul style="list-style-type: none"> <li>➢ 希少・難治疾患 13,513 変異</li> <li>➢ がん 25,073 変異</li> <li>➢ 感染症 157,082 変異 (GWAS を含む)</li> <li>➢ 認知症・覚器 19,339 変異 (GWAS を含む)</li> <li>➢ 合計 218,878 変異 (GWAS を含む)</li> </ul> </li> <li>・IRUD 事業、難プラ事業と連携し、IRUD から 494 件、難プラより 424</li> </ul>	<p>【難治性・希少性疾患等の原因遺伝子の探索】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・難治疾患、がん、感染症、認知症、感覚器の疾患領域を対象として、学会組織と連携しながら日本全国規模における医療研究機関の共同研究ネットワークを構築し、難治性・希少性疾患等の原因遺伝子の探索およびゲノム診断を実施したことは大いに評価できる。</li> </ul> <p>【臨床ゲノム情報統合データベースの整備】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・各疾患領域の研究班より計画を上回るデータ登録があったこと、MGeND が全世界から参照されるデータベースとして運用されていることは大いに評価できる。</li> </ul> <p>&lt;今後の課題&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・他事業と連携して MGeND データのデータ登録を更に推進する。</li> <li>・MGeND データを利活用した研究をさらに促進する。</li> </ul> <p>【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】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・ゲノム情報をいかした診断治療ガイドラインの策定に必要なパネル検査の開発と保険収載をがん領域と難聴領域で実現できたこと、更にごん領域においては「患者レポジトリー及びがんゲノム医療知識データベース」の基盤整備の立ち上げに貢</li> </ul>

				<p>件の登録を得た。</p> <p>■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 (臨床ゲノム情報統合データベース整備事業)</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>希少がん、若年がんを含む多種進行がんにおける体細胞変化、および、遺伝性腫瘍原因遺伝子の生殖細胞系列変化を対象として NCC オンコパネル検査を開発した。本パネルは厚生労働省先駆け審査制度指定項目に指定され、体外診断システムとしての薬事承認に向けて国内実装化に向かっている。それに合わせ、H30 年度より、9 箇所のゲノム中核病院を含む全国 50 施設からなる先進医療が開始され、薬事承認後を想定した expert panel 会議の開催、患者への結果返却を行っている。</li> <li>リンチ症候群を対象として、リンチ症候群との鑑別を要する疾患の原因遺伝子を含んだマルチ遺伝子パネル解析法を開発した。DNA と RNA を用いたマルチ遺伝子パネルによる新たな方法を開発し、従来法では確定診断できなかったスプライシングの異常や遺伝子を大規模欠損が検出できるようになった。マルチ遺伝子パネル解析によるコピー数の変化も検出できる系となった。</li> <li>DNA パネルはがん関連 464 遺伝子に対して、点突然変異、挿入欠失だけでなく、染色体コピー数変化を測定することができ、RNA パネルは、463 種類の遺伝子に対して遺伝子融合、発現量解析、エクソンスキッピングが測定できる Todai OncoPanel パネルを開発した。本パネル検査は、先進医療 B として、保険収載を見据えた臨床性能試験に移行した。</li> <li>難聴領域においては、株) ビーエムエルとの連携により若年発症型両側性感音難聴のパネル検査を保険診療に移行できた。</li> <li>がんゲノム情報の集約・管理・利活用を図るためのがんゲノム医療・研究のマスターデータベースとしての「がんゲノム情報レポジトリ」、および、同定された変異意義付けの際の基礎情報となる「がんゲノム知識データベース」のプロトタイプを構築していたことで、平成 30 年度から本格的に始まったゲノム医療体制を促進する「患者レポジトリ及びがんゲノム医療知識データベース」の基盤整備の立ち上げに貢献した。</li> </ul> <p>(ゲノム創薬基盤推進研究事業 (再掲))</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>「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。</li> </ul>	<p>献したことは、大いに評価できる。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>ゲノム医療の現場において、医療従事者が適切なプロセスを経てゲノム医療に係る情報伝達を行い、開示されるゲノム情報が患者及び家族の医療及び健康管理のために適切に役立つことを目的とした提言を整備したことは大いに評価できる。</li> </ul> <p>&lt;今後の課題&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>ゲノム創薬基盤推進研究事業については、がんゲノム医療中核拠点病院・連携病院が指定され、がん遺伝子パネル検査の一部は 2019 年度からは保険診療として開始される状況を踏まえ、がん遺伝子パネル検査に対応できる「情報伝達プロセス」を明確に整理する必要がある。</li> </ul>	
--	--	--	--	---	---	--

<p>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。</p>	<p>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。</p>	<p>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研究基盤の整備や医療提供体制の構築を図るための検討を進める。具体的には、ゲノム医療を提供するために必要な体制の構築を図るため、インフォームド・コンセント、偶発的所見等を含めての検査結果説明、患者の血縁者への対応、その後のケア等についての具体的対応策の検討等を行うとともに、対応策の効果の検討を行う。また、薬剤の有効・無効患者の層別化、至適投与量の予測等の個別化医療に関する研究並びに世界に先駆けた核酸医薬の研究基盤の整備を進める。</p>	<p>&lt;評価軸&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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。</li> </ul> <p>&lt;モニタリング指標&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・左記の評価軸に係る取組状況等</li> </ul>	<p>■ゲノム医療提供体制の構築に向けた研究の推進</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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。</li> </ul> <p><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></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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。</li> <li>・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。</li> </ul> <p><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></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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。</li> </ul> <p><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></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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。</li> <li>・「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。</li> <li>・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。</li> </ul>	<p>【ゲノム医療提供体制の構築に向けた研究の推進】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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。</li> </ul> <p>&lt;今後の課題&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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。</li> <li>・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)</li> </ul>	
--	--	---	--	---	---	--

				<p><u>ゲノム情報を活用した新規創薬ターゲットの探索等の基盤整備に関する研究（創薬探索基盤整備課題）</u></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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。</li> </ul>		
<p>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、</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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</li> <li>・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</li> <li>・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</li> <li>・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</li> </ul> <p>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。</p>	<p>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、</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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</li> <li>・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</li> <li>・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</li> <li>・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</li> </ul> <p>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。</p>	—	<p>&lt;評価指標&gt;</p> <p>【2020年までの達成目標】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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</li> <li>・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</li> <li>・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</li> <li>・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</li> </ul> <p>&lt;モニタリング指標&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・応募件数及び採択件数</li> <li>・事業に参画している研究者延べ人数</li> <li>・PMDA への薬事</li> </ul>	<p>■医療分野研究開発推進計画 達成すべき成果目標（KPI）</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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： <ul style="list-style-type: none"> <li>「ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業」において、20万人規模の日本人集団の遺伝情報を用いた大規模ゲノムワイド関連解析を行い、2型糖尿病の発症に関わる遺伝子領域を新たに28同定し、日本人と欧米人では異なる仕組みが2型糖尿病の発症に関わることを見出した。</li> <li>更に、2型糖尿病の重症化奨励について全ゲノム解析を実施した結果、オッズ比2~4の強い効果を持つ遺伝因子の同定に成功した。これらの遺伝因子を利用した重症化予測法の開発を進めている。</li> </ul> </li> <li>・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： <ul style="list-style-type: none"> <li>「ゲノム創薬基盤推進研究事業」において、チオプリン製剤の重篤な副作用の予測に有用な NUDT15 遺伝子多型を検出するキットの開発を行い、世界で初めての体外診断用医薬品として製造販売承認を取得し、キットの発売を行った。また、平成31年2月には保険適応に至った。</li> <li>「臨床ゲノム情報統合データベース整備事業」において、「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)。「Todai オンコパネル」は、先進医療Bを実施中である。</li> </ul> </li> <li>・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： <ul style="list-style-type: none"> <li>「臨床ゲノム情報統合データベース整備事業」では、感覚器障害患者8,864件のゲノム情報と臨床情報等を集積し、全国より集積された症例のクリニカルシーケンスを実施し、新規変異の同定を行った。また、企業と連携し健康保険の検査として社会実装を行った。</li> <li>認知症領域においては、WGS 1,670例、WES 520例、GWAS 20,132例を実施、認知症領域における疾患ゲノム研究を展開する基盤を構築することができた。</li> </ul> </li> <li>・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：</li> </ul>		

			<p>戦略相談を行った研究開発課題数</p> <p>・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</p>	<p>「臨床ゲノム情報統合データベース整備事業」では、神経・筋難病等の難病疾患を対象として約 6,000 件のゲノム解析を行い、新たな疾患原因遺伝子を同定し、約 2,000 のバリエーションを登録した。また、解析した結果から、約 900 症例の診断を確定した。</p> <p>「ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業」では 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、<i>vitro</i> 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。</p> <p>・応募件数及び採択件数：28 件及び 7 件（H30 ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業）</p> <p>・事業に参画している研究者延べ人数：877 人</p> <p>・PMDA への薬事戦略相談を行った研究開発課題数：2 件</p> <p>・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：10 件</p> <p>&lt;平成 29 年度実績に係る外部評価委員会における指摘事項&gt;</p> <p>■指摘事項</p> <p>・将来の研究開発の発展のために、若手研究者の育成を更に推進すること。</p> <p>【対応状況】</p> <p>・革新的先端研究開発支援事業では、平成 30 年度に引き続き 31 年度公募においても公募要領に理事長名による『若手研究者の積極的な参画・活躍について』を明記し、研究者交流の場の提供、研究代表者による若手研究者支援の働きかけを行うこととしている（現在 2019 年度公募準備中）。また、若手研究者に対して、専門的な分析技術等の共有を目的とした質量分析講習会（10/9 東京大学）を実施したり、領域会議（1/29-1/31 福岡）においてバイオバンク・倫理審査の専門家およびバイオバンク課担当によるバイオバンク説明会を開催した。</p> <p>・ゲノム医療実現プラットフォーム事業先端ゲノム研究開発（GRIFIN）において、申請時に登用予定の若手研究者及びその実績、研究内容、育成計画を記載してもらっており、若手研究者の登用の推進に取り組んだ。その結果、この方式で公募を行った平成 30 年度採択 2 課題について助教、医師、研究員、大学院生等 63 名にに参加してもらい、本研究開発を通して若手人材の育成を実施している。</p> <p>■指摘事項</p> <p>・医療イノベーションの創出に向け、データシェアリングや広域連携・分散統合という概念が極めて重要となっている。また、汎用・基盤的な大型機器の共用も、共同研究の推進や融合領域の開拓等を通じてイノベーションに大きく貢献するものである。これまでに、機構のイニ</p>		
--	--	--	--	--	--	--

				<p>シアタイプにより IRUD や複数の学会による異なるモダリティの画像データベースの取組、あるいは低温電子顕微鏡ネットワーク等によってその端緒が開かれてはいるが、今後、データの統合・共有化や、汎用・基盤的な大型機器の共用促進を、研究機関全体に広げていく取組を進めること。</p> <p><b>【対応状況】</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・ヒトサンプルを使った研究開発を進めるため、革新先端事業内に新たに成果展開の仕組みとして FORCE（ステップタイプ）を導入した。PS, PO 等の運営体制を整備し、2月に公募を開始した。</li> <li>・バイオバンクの利便性等について平成 30 年夏に研究者アンケートを実施し、バイオバンクの認知度や倫理申請の難しさ等に課題があることがわかった。これを克服すべく、バイオバンク課と協力し、2019 年度からバイオバンクおよび倫理審査を専門とする PO を設置すべく、準備を進めている。</li> <li>・老化プロジェクトでは、支援拠点における老化マウスの解析データ等の共有化を図るため、理研、長寿研と打ち合わせを行って会議等の調整を進めている。</li> <li>・ToMMo のスパコン供用サービスの概要やバイオバンクサンプルの利活用について、機能低下領域の領域会議にてパンフレットの配布及び口頭での説明にて、研究者への周知を行った。</li> <li>・若手研究者に対して、専門的な分析技術等の共有を目的とした質量分析講習会を実施した。講習会実施前には、アンケートを行い、ニーズにあわせた内容の講習会となるようにした。</li> </ul> <p>&lt;平成 29 年度主務大臣による評価を踏まえた課題&gt;</p> <p><b>■指摘事項</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・オーダーメイド医療の実現プログラムで構築されたバイオバンク・ジャパンが、ユーザー視点に立ち、これまでに蓄積された試料・臨床情報、ゲノムデータの利活用を更に進める必要がある。</li> </ul> <p><b>【対応状況】</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・ヒト疾患バイオバンク試料を初めて利用するユーザーの為に、バイオバンクジャパンの web サイトの改訂やパンフレットの作成を行うなど、利活用の促進に努めた結果、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、2019 年度はバンク資料の活用幅を広げる血清パネルの作成・配布を予定するなど、更なる利活用促進を進めることとしている。また、モデル生物による基礎研究からヒト医学研究への橋渡しの実現に向けて、研究企画課による革新的先端研究開発支援事業のモデル生物利用研究者を対象としたバイオバンクに対する要望調査に協力して要望の内容と実際の利用</li> </ul>		
--	--	--	--	---	--	--

					<p>希望者候補等を抽出し、これらユーザー候補が実際の試料利用を始められるように検討を進めている。</p> <p>■指摘事項</p> <p>・東北メディカル・メガバンク計画において、リクルートされた研究参加者の追跡・詳細二次調査や、アレイ解析・全ゲノム解析等を全体計画に示された目標の達成に向けて着実に進めるとともに、得られた試料・情報の外部研究者への分譲、公開を強化、加速する必要がある。</p> <p>【対応状況】</p> <p>・追跡調査は順調に進捗。詳細二次調査については、今年度の市町村との契約に基づき IMMの数値目標を修正、月次報告による管理を継続し、今年度はおおむね達成の見込み（27,316人、1月末時点予約数含む）。各種解析等を着実に進め、日本人全ゲノムリファレンスパネル 3.5KJPNv2 や1万人に拡張した血漿中代謝物情報を jMorp で公開、効果的な広報活動によりその利用を促進した。約 2.3 万人分の生体試料・情報を対象に、分譲や共同研究を実施している。また、バンク試料・情報の外部研究者への分譲等利用を加速させるため、試料・情報分譲までのプロセスを見直し期間を短縮、BBJ と合わせて AMED 課題の研究者に対してもバイオバンクを紹介するなどの活動を行った。</p> <p>■指摘事項</p> <p>・ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業において、先端ゲノム研究開発（多因子疾患研究）として現在進めている 6 課題について、研究開始後 5 年以内の実用化に向けた検証や臨床研究へ移行できるよう、進捗管理等を行っていく必要がある。</p> <p>【対応状況】</p> <p>・平成 28 年度開始の 4 課題については、平成 30 年 9 月に実施した中間評価結果を踏まえ、研究開始後 5 年以内の実用化に向けた検証や臨床研究へ移行できるよう、PS/PO と調整しつつ必要に応じて研究計画の見直しを進めた。また、平成 30 年度開始の 2 課題についても、サイトビジットや班会議への参画等を通じて研究開始後 5 年以内の実用化に向けた検証や臨床研究へ移行できるよう、進捗管理を行った。</p> <p>・PSPO と協議を重ね、多因子疾患における 5 年以内の実用化に向けた出口戦略を明確化した。多因子疾患の解明においてはゲノムに加えてオミックス情報の利用が重要であることを強調した。</p> <p>A) 重症化の予測と層別化医療</p> <p>【例】糖尿病重症化の遺伝因子・バイオマーカー</p> <p>➡ 早期治療介入により重症化予防</p> <p>B) 疾患感受性の高いレアバリエントを用いたメカニズムの解明</p> <p>【例】パーキンソン病のレアバリエント</p> <p>➡ 悪性黒色腫の治療薬の適応拡大</p>		
--	--	--	--	--	---	--	--

				<p>C)遺伝型に基づくリスク予測と予防</p> <p>【例】心血管疾患の遺伝的発症リスクが高い</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>➡ 現在の健康状態や他のリスクを勘案した上での、スタチンの予防的服用等</li> </ul> <p>■指摘事項</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・臨床ゲノム情報統合データベース整備事業においては、各疾患領域の研究班における MGeND へのデータ登録を推進すると共に、MGeND に登録されたゲノム情報等を創薬等へ利活用する研究等について検討をしていく必要がある。</li> </ul> <p>【対応状況】</p> <p>(再掲)</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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ーション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、日本人の疾患感受性バリエーション情報を全世界に公開している。各疾患領域の研究班より計画を上回るデータ登録があった。</li> <li>➢ 希少・難治疾患 13,513 変異</li> <li>➢ がん 25,073 変異</li> <li>➢ 感染症 157,082 変異 (GWAS を含む)</li> <li>➢ 認知症・覚醒 19,339 変異 (GWAS を含む)</li> <li>➢ 合計 218,878 変異 (GWAS を含む)</li> <li>・IRUD 事業、難プラ事業と連携し、IRUD から 494 件、難プラより 424 件の登録を得た。</li> <li>・ゲノム創薬基盤推進研究事業において、MGeND に登録されたゲノム情報等を創薬等へ利活用する研究課題を新たに設定し、新規公募を行った。予想を遙かに上回る応募があった。</li> </ul> <p>■指摘事項</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・データシェアリングの推進に向けては、データマネジメントプランをもとに、データの共有が適切に図られるよう推進することが必要である。</li> </ul> <p>【対応状況】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・データシェアリングポリシーが適用されているゲノム医療実現推進プラットフォーム事業 (先端ゲノム研究開発) では 7~8 月に実施したサイトビジット及び 9 月に実施した中間評価の機会を用いてデータマネジメントプランの内容把握及び再確認を行った。また、臨床ゲノム情報統合データベース整備事業では平成 31 年 1~2 月に、ゲノム創薬基盤推進研究事業では平成 31 年 1 月に実施した事後評価の機会を用いて、データマネジメントプランの実施状況を把握し、確実にデータの共有が図られるように再確認した。</li> <li>・平成 30 年 11 月にデータシェアリングポリシーを改定し、感染症研究</li> </ul>		
--	--	--	--	--	--	--

				<p>課及び脳と心の研究課の所管事業にも適用を広げた。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>平成 31 年度の契約時に、データマネジメントプラン及びその実施状況を提出させ、共有が適切に図られていることを確認した。</li> <li>臨床ゲノム情報統合データベース整備事業及びゲノム創薬基盤推進研究事業においては、データシェアリングポリシーが適用される研究班にデータマネジメントプランの提出を促している。臨床ゲノム情報統合データベース整備事業の平成 30 年度終了課題については、データの登録が可能になった平成 30 年度当初から PSPO の助言の元各研究班にデータ登録を呼びかけ、進捗を細やかに確認した。また、事後評価に向けてデータマネジメントプランに対しての評価指標を評価委員とともに検討した。データ登録も順調に実施され、実際に事後評価が行われた結果、評価対象の各課題においてデータマネジメントプランどおりあるいはそれを上回る登録数であり、評価も滞りなく終えられた。同様に、ゲノム創薬基盤推進研究事業においても PSPO の助言の元にデータ登録を促すとともに評価委員と評価の方向性について検討し、評価指標に従い追跡評価が必要な研究班については追跡方法も確認した。データシェアリングポリシーが適用される事業のさきがけとして、公募から事後評価までの一貫した仕組みを整えることができた。</li> </ul>		
--	--	--	--	--	--	--

注 5) 複数の項目をまとめて作成する場合には、適宜行を追加し、項目ごとに評定と評定に至った理由を明記。ただし、「主な評価指標」や「業務実績」欄については、複数の項目にまたがってまとめて記載することが可能

#### 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、難易度	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）

注 1) 重点化の対象としない項目については、法人の業務管理に活用しやすい単位ごとに、複数の項目をまとめて作成することが可能

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		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	12 種以上	9 種	20 種	21 種	26 種							

療薬の実用化に向けた治験への導出													
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2) 複数の項目をまとめて作成する場合には、適宜行を追加し、項目ごとに主要な経年データを記載

注3) 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4) 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	年度計画	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	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	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	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、臨床研究等へ導出する。また、臨床研究で得られた臨床データ等を基礎研究等に還元し、医薬品・医療機器開発をはじめとするがん医療の実用化を「がん研究10か年	<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	■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、次世代がん医療創生研究事業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会議を年度内に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。次世代がん医療創生研究事業および革新的がん医療実用化研究事業では、POとAMED職員によるサイトビジットを年度末までに265回行った。 ・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それぞれサポート機関を設置し、PD/PS/POの指示の下、各事業の研究	<評価と根拠> 評価:A PD/PS/POを中心にジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト全体の一体的運用により、日本初のがん治療ウイルス薬の製造販売承認申請に着手、固形がんの有効な新規CAR-T細胞の開発、機能喪失性変異に対し代謝異常を標的とする新規がん治療法の発見など、顕著な研究成果を挙げた。事業や省庁の枠を超えプロジェクトを一体的に運用し、次世代がん・革新が	評価	

<p>推進する。</p> <p>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。</p>	<p>推進する。</p> <p>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。</p>	<p>戦略」(平成26年3月関係3大臣確認)に基づいて加速する。</p> <p>具体的には、がんの生物学的解明に迫る研究、がんゲノム情報など患者の臨床データに基づいた研究及びこれらの融合研究を推進し、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、評価委員会において、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委員を選任し、がん分野の特性を踏まえたピア・レビューを実施する。</p> <p>がん予防、がんゲノム医療、免疫療法、難治性がんや希少がんの早期診断や治療法開発等に資するが</p>	<p>よって個別化医療の実現、国際的な貢献を果たしたか。</p> <p>&lt;モニタリング指標&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・左記の評価軸に係る取組状況等</li> </ul>	<p>開発課題の進捗管理を補助し、開発方針等について適切な助言や支援を行う体制を構築しているところ、JCRPとして両サポート機関を通じて一元的に研究進捗管理を行い、基礎研究から実用化へ一貫してつなぐマネジメントを実現するため、H30年度は、両事業のサポート機関が、研究倫理研修を合同開催するとともに、市民向け成果報告会やPD/PS/PO会議での活動報告などを通じて、事業の枠を超え連携を強化した。</p> <p>▶次世代がん医療創生研究事業(P-CREATE)(研究課題・進捗管理)</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・5領域、80課題(前年度からの継続課題。年度研究費予算総額:(H30:4,135)百万円)を今年度当初より支援した。一次公募にて25課題、二次公募にて33課題を追加採択し、合計138課題の研究管理を行った。</li> <li>・PS/PO会議を年間7回、PS/POも参加する研究代表者会議を1回開催し、進捗把握と事業の推進に努めた。</li> <li>・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。</li> <li>・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、11課題の標的探索研究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。</li> <li>・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として平成29年に採択された13課題のうち、1課題をステージアップ評価によって応用研究タイプに移行させることで、実用化に向け研究加速した。</li> </ul> <p>▶革新的がん医療実用化研究事業(研究課題・進捗管理)</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・6領域に亘る202課題(前年度からの継続課題、一次公募採択課題。年度研究費予算総額:(H30:8,681)百万円)を年度当初より支援した。二次公募にて23課題を追加採択し、合計225課題の研究管理を行った。</li> <li>・PS/PO会議を年間9回、PS/POも参加する研究代表者会議を1回</li> </ul>	<p>両サポート機関の連携強化によって一貫通貫マネジメントの実現に向けた基盤整備、次世代がん事業で標的探索研究から応用研究へステージアップ評価を実施するとともに、応用研究のステージゲート評価によって有望な研究課題の次のステージへの移行と革新がん事業への移行を実現、課題紹介リーフレット集配布を通じて企業導出を促進、がん関連遺伝子パネル検査の開始に対応した医薬品の新規開発と適応拡大を目指した医師主導治験を推進。戦略的な公募策定への活用を目的にICRPに正式加盟、早期診断バイオマーカー実用化の日米研究協力体制構築、異分野交流若手ワークショップや海外短期研修等への派遣を通じて国際的に活躍できる若手研究者育成を推進。KPI目標値を超える治験導出等を実現するなど、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。</p>	
---	--	---	--	--	---	--

		ん研究を推進する。		<p>開催し、進捗把握と事業の推進に努めた。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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。</li> <li>・サポート機関において、研究開発課題進捗管理システム、研究情報マッピングシステム、ポータルサイト等の開発・改修を進め、運用を開始した。</li> <li>・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、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。</li> </ul>	
<p>また、臨床研究及び治験で得られた臨床データ等を基礎研究等に還元し、医薬品、医療機器の開発を始めとするがん医療の実用化を加速する。</p>	<p>また、機構が実施する研究において、がんに関する研究機関との連携体制を整備することにより、当該研究機関が保有する研究能力やデータベース等の研究資源を戦略的に活用し、がん治療の実用化に貢献する。</p> <p>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。</p> <p>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、</p>	<p>また、AMEDが実施する研究において、がんに関する研究機関との連携体制を整備することにより、当該研究機関が保有する研究能力やデータベース等の研究資源を戦略的に活用し、がん治療の実用化に貢献する。臨床研究及び治験で得られるゲノム解析データ等を格納した既存のプログラム内データベースの運用を拡充するとともに、その利活用を推進するために研究者に対して研究倫理に関する支援を行う。</p> <p>さらに、応用研究段階にある研究課題及び治験に導出する</p>	<p>&lt;評価軸&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・臨床研究及び治験で得られた臨床データ等を基礎研究等に還元し、医薬品、医療機器の開発を始めとするがん医療の実用化を加速したか。</li> </ul> <p>&lt;モニタリング指標&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・左記の評価軸に係る取組状況等</li> </ul>	<p>■次世代がん医療創生研究事業における取組</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・技術支援班が、サポート機関と連携して全105課題を対象としたアンケート調査により研究者の要望をくみ上げ、PO同席のもと、13課題の技術支援マッチング会議を開催し、研究者の要望に応じたタイムリーな技術支援を行った。</li> <li>・NBDCとの連携を前身事業（次世代がん研究シーズ戦略的育成プログラム（P-DIRECT））に引き続いて実施し、データシェアリングやデータ公開に取り組んだ。</li> <li>・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サポート機関が合同で研究者向けの研修会を1回開催し、ヒト試料・情報を使用する研究に必要な倫理的配慮について周知し、研究者が適切に対応できるように支援した。</li> </ul> <p>■革新的がん医療実用化研究事業における取組</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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や次世代がん医療創生研究事業のサポート機関などに共有を行った。</li> </ul> <p>■臨床研究・治験で新たに得られた新知見・問題点を踏まえた新たな基礎研究領域の抽出と将来を見越したがんの基礎研究の開拓のための取組</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・革新的がん医療実用化研究事業においてPS/PO会議を年間9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公募要領に反映させた。二次公募においては、支持・緩和療法のプレジジョン・メディシンの実現に資するリバース・トランスレーショナル・リサーチを</li> </ul>	<p>【次世代がん医療創生研究事業における取組】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・サポート機関による進捗情報の整理をもとにした技術支援班によるタイムリーな技術支援に加えて、標的探索研究タイプから応用研究タイプへのステージアップや革新的がん医療実用化研究事業への課題導出など事業内または事業間の支援の連携に関する取組を強化したことで、有望シーズの速やかな育成に資すると期待される。</li> </ul> <p>【臨床研究・治験で新たに得られた新知見・問題点を踏まえた新たな基礎研究領域の抽出と将来を見越したがんの基礎研究の開拓のための取組】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・革新的がん医療実用化研究事業におけるサポート機関の運用開始と、次世代がん医療創生研究事業のサポート機関との協力によって、異分野技術の融合を通じたリバース・トランスレーシ</li> </ul>

	<p>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。</p>	<p>主体や時期に関する戦略を研究者や PO 等とともに検討できるよう、知的財産戦略に精通した人材を含む研究支援基盤を整備する。研究成果の企業導出を通し実用化を促進するために、成果発表会等を活用して研究者と産業界の人的交流の活性化を図る。</p> <p>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。このため、医師等が有する臨床的疑問を研究者が把握して基礎研究に活用できるよう、成果発表会等を活用して若手研究者を含めた人的交流の活性化を図る。</p>	<p>募集し、該当する新規課題を採択した。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・サポート機関による進捗情報の整理とそれに基づく技術支援を通じた包括的リバーズ・トランスレーショナル・リサーチを推進するため、次世代がん医療創生研究事業と革新的がん医療実用化研究事業のサポート機関が研究倫理研修会開催等での協力を通じて連携を強化した。</li> <li>・アカデミアシーズへの企業関係者の理解促進を図ることで研究成果の企業導出を促進するため、次世代がん医療創生研究事業と革新的がん医療実用化研究事業の研究課題を紹介するリーフレット集を初めて作成し、製薬協や臨薬協等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た。さらに、配布先を対象とした事後アンケートを実施し、企業ニーズを把握することで今後の情報提供のあり方の参考とするとともに、リーフレット集配布の効果について調査を行い、企業側の関心の高さを確認することができた。引き続き、企業側の要望に応じて研究者との個別面談サポートなど提携を促す環境を提供するなど、フォローアップを行っている。</li> <li>・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。</li> <li>・がん早期診断のためのバイオマーカーの研究成果について米国 NCI (National Cancer Institute) と合同で平成 31 年 3 月に米国内でワークショップを開催し、わが国の主要バイオバンクへのアンケートから保存検体について取りまとめた結果を会議で発表し、日米の研究協力体制の構築に向けて、今後のシーズ交換実施に関する意見交換を行った。</li> <li>・若手研究者育成の一環として、次世代がん医療創生研究事業、革新的がん医療実用化研究事業、および脳とこころの健康大国実現プロジェクトの戦略的国際脳科学研究推進プログラムに参加する若手研究者を対象に、異分野交流をテーマにした、第 4 回 AMED がん若手研究者ワークショップを開催し、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。</li> <li>・研究開発成果のみならず、そ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として、JCRP の 5 事業に拡大して (平成 29 年度 4 事業)、市民向け成果発表会を合同で開催した。PS/PO などの有識者が指揮をとりポスターを巡る「ポスターツアー」を実施するなど、がん研究をより身近に感じていただくことに成功した。</li> </ul>	<p>ョナル・リサーチを推進するための基盤が整備された。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・研究開発課題紹介リーフレット集を今年度初めて作成し、企業向けに配布するなどの工夫によって、製薬企業と研究者が個別に提携しやすい環境が整えられ、研究成果の企業導出の促進に役立つことが期待される。</li> <li>・今年度の若手ワークショップでは他の疾患領域の事業にも拡大して異分野交流をテーマとすることで、若手研究者が新しい発想によって問題解決の手掛りを得る貴重な機会を提供する取組となった。</li> </ul>	
--	---	--	--	--	--

<p>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、</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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</li> <li>・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</li> <li>・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</li> <li>・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</li> <li>・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。</li> </ul>	<p>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、</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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</li> <li>・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</li> <li>・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</li> <li>・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</li> <li>・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。</li> </ul>	<p>—</p>	<p>&lt;評価指標&gt;</p> <p>【2020年までの達成目標】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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</li> <li>・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</li> <li>・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</li> <li>・いわゆるドラッグ・ラグ、デバイス・ラグの解消</li> <li>・小児・高齢者のがん、希少がんに対する標準治療の確立（3件以上のガイドラインを作成）</li> </ul> <p>&lt;モニタリング指標&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・応募件数及び採択件数</li> <li>・事業に参画し</li> </ul>	<p>■医療分野研究開発推進計画 達成すべき成果目標（KPI）</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・日本発の革新的ながん治療薬の治験への導出数：14種（うち平成30年度に2種） （導出例） <ul style="list-style-type: none"> <li>➢ 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</li> <li>➢ 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</li> <li>➢ 高齢者食道癌に対するペプチドホルモン療法</li> <li>➢ 進行・再発固形がんに対する免疫療法</li> <li>➢ 悪性神経内分泌腫瘍に対する 131I-MIBG 内照射療法</li> <li>➢ 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</li> <li>➢ 非小細胞肺癌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</li> </ul> </li> <li>・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（うち平成30年度に5種） （導出例） <ul style="list-style-type: none"> <li>➢ 再発膠芽腫に対する適応拡大試験</li> <li>➢ 難治性神経芽腫に対する分化誘導療法</li> <li>➢ 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</li> <li>➢ 難治急性リンパ性白血病に対する多剤併用療法</li> <li>➢ 胸腺癌、胸腺腫に対する抗 PD-1 抗体ニボルマブ（適応拡大）</li> <li>➢ 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</li> <li>➢ オリジナル抗原 HSP105 由来ペプチドワクチン</li> <li>➢ 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</li> <li>➢ 慢性骨髄性白血病に対する根治薬</li> </ul> </li> <li>・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。</li> <li>・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。</li> </ul>	<p>【革新的がん医療実用化研究事業における取組】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・日本発の革新的ながん治療薬の治験への導出数：14種（うち平成30年度に2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（うち平成30年度に5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。</li> </ul>	
--	--	----------	--	--	---	--

			<p>ている研究者延べ人数</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・PMDA への薬事戦略相談を行った研究開発課題数</li> <li>・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</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>・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（うち平成30年度に0件）</li> <li>※ 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）</li> <li>・応募件数及び採択件数：723件及び135件</li> <li>・事業に参画している研究者延べ人数：2,594人</li> <li>・PMDA への薬事戦略相談を行った研究開発課題数：7件</li> <li>・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：113件</li> </ul> <p>&lt;平成29年度実績に係る外部評価委員会における指摘事項&gt;</p> <p>■指摘事項</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・将来の研究開発の発展のために、若手研究者の育成を更に推進すること。</li> </ul> <p>【対応状況】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・次世代がん医療創生研究事業では、平成30年度の第1回・第2回調整費を活用して二次公募を実施し、新規シーズを発掘するとともに若手研究者を育成するべく革新的な治療薬等の開発・実用化を目指す研究を募集し、若手研究者による提案を優先的に採択した。また、次世代がん医療創生研究事業及び革新的医療実用化研究事業において、国際的に活躍できる若手人材の育成を図るため、書面審査により選抜された若手研究者を海外学会等へ派遣するとともに、平成30年度からは新たに海外研修支援プロジェクトを立ち上げ、書面審査により選抜された若手研究者を海外研究機関での短期研修に派遣するなど、若手研究者の更なる育成に取り組んだ。</li> </ul> <p>■指摘事項</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・国際戦略の推進の面では、海外事務所の活発な活動により更なる国際連携を進めているが、国際レビューアの導入を契機として、より質の高い国際共同研究の取組を進めること。</li> </ul> <p>【対応状況】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・次世代がん医療創生研究事業では、平成31年度の標的探索研究タイプの公募において、海外研究機関との連携を活用する研究提案を対象とした若手研究者育成枠を設定し、国際レビューアによる査読を導入している。また、革新的がん医療実用化研究事業の平成31年度一次公募では、公募要領の特記事項に国際共同臨床研究を実施する課題を優</li> </ul>		
--	--	--	---	---	--	--

				<p>先的に採択する旨を記載し、該当する課題を採択した。</p> <p>■指摘事項</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・医療イノベーションの創出に向け、データシェアリングや広域連携・分散統合という概念が極めて重要となっている。また、汎用・基盤的な大型機器の共用も、共同研究の推進や融合領域の開拓等を通じてイノベーションに大きく貢献するものである。これまでに、機構のイニシアティブにより IRUD や複数の学会による異なるモダリティの画像データベースの取組、あるいは低温電子顕微鏡ネットワーク等によってその端緒が開かれてはいるが、今後、データの統合・共有化や、汎用・基盤的な大型機器の共用促進を、研究機関全体に広げていく取組を進めること。</li> </ul> <p>【対応状況】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・次世代がん医療創生研究事業の公募では、NBDC 等の各種データベースへのデータ登録を奨励しており、革新的がん医療実用化研究事業においては、公募要領に MGeND へのゲノムデータ登録の協力依頼文を掲載するとともに、研究代表者会議において研究者への周知を行った。また、次世代がん医療創生研究事業では、汎用・基盤的な大型機器の共用促進に資する取組として、サポート機関が整理した進捗情報に基づき、技術支援班が創薬支援技術を課題横断的に適時適切に提供している。</li> </ul> <p>&lt;平成 29 年度主務大臣による評価を踏まえた課題&gt;</p> <p>■指摘事項</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・平成 30 年 3 月に閣議決定された「第 3 期がん対策推進基本計画」も意識し研究を推進する。</li> </ul> <p>【対応状況】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・がん対策推進基本計画を事業運営に反映すべく、基礎から臨床まで一貫した研究を実施する体制を確保し、新規治療薬の開発、標準的治療法の開発、難治性がんや希少がんなどの研究課題に対応する形で事業を実施してきたところ、革新的がん医療実用化研究事業の平成 31 年度一次公募では、領域 6 での小児がん、希少がん及び難治性がんなどの研究開発、領域 1 のゲノム医療や領域 3 の免疫療法を含む幅広いモダリティを対象とした研究開発など、「第 3 期がん対策推進基本計画」を意識した公募設定を行った。</li> </ul> <p>■指摘事項</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・臨床研究・治験で得られた知見を基礎研究へ還元する基盤を構築するため、「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</li> </ul>		
--	--	--	--	---	--	--

				<p>究事業」のサポート機関の一体的な運用に向けて、より一層の連携の促進を図る。</p> <p><b>【対応状況】</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>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サポート機関によって両事業合同の研究倫理研修を開催するとともに、<b>JCRP</b> の市民向け成果報告会でサポート機関の活動を紹介するコーナーを設け、両サポート機関が共に発表するなど、連携を拡大する取組を行った。さらに、革新的がん医療実用化研究事業のサポート機関が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、次世代がん医療創生研究事業のサポート機関の陪席のもと <b>PD/PS/PO</b> 会議で報告し、両事業のサポート機関が問題意識を共有できるようになった。</li> </ul> <p><b>■指摘事項</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>「次世代がん医療創生研究事業」の探索研究において創出された有望なシーズについて、応用研究への橋渡しなど事業内の支援の連携に関する取組を強化し、有望シーズの速やかな育成を推進する。</li> </ul> <p><b>【対応状況】</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>次世代がん医療創生研究事業の標的探索研究タイプの中から <b>PO</b> 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、11 課題の標的探索研究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。</li> </ul>	
--	--	--	--	--	--

注5) 複数の項目をまとめて作成する場合には、適宜行を追加し、項目ごとに評定と評定に至った理由を明記。ただし、「主な評価指標」や「業務実績」欄については、複数の項目にまたがってまとめて記載することが可能

#### 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）

注 1) 重点化の対象としない項目については、法人の業務管理に活用しやすい単位ごとに、複数の項目をまとめて作成することが可能

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		205 件	200 件	30 件	211 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	61 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	1 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	60 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	15 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 2) 複数の項目をまとめて作成する場合には、適宜行を追加し、項目ごとに主要な経年データを記載

注 3) 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 4) 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	年度計画	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		
認知症やうつ	認知症やうつ	認知症やうつ病	<評価軸>	■ 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)	<評定に至った理由>	評定	

<p>病などの精神・神経疾患等の発症に関わる脳神経回路・機能の解明に向けた研究開発及び基盤整備を各省連携の下に強力に進めることにより、革新的診断・予防・治療法を確立し、精神・神経疾患等を克服する。</p> <p>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、</p>	<p>病などの精神・神経疾患等の発症に関わる脳神経回路・機能の解明に向けた研究開発及び基盤整備を各省連携の下に強力に進めることにより、革新的診断・予防・治療法を確立し、精神・神経疾患等を克服する。</p> <p>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。</p> <p>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</p>	<p>などの精神・神経疾患等の発症に関わる脳神経回路・機能の解明に向けた研究開発及び基盤整備を各省連携の下に強力に進めることにより、革新的診断・予防・治療法を確立し、精神・神経疾患等の克服を目指す。</p> <p>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、これまでの取組で得られた知見を踏まえ、霊長類の神経回路の網羅的解析等を進めると同時に、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を進めていく。また、事業を取りまとめる中核拠点や研究開発実施機関間のネットワーク化を促し、精神・神経疾患の特性を踏まえた研究開発基盤の</p>	<p>・脳全体の神経回路の構造・機能の解明やバイオマーカー開発に向けた研究開発及び疾患の特性を踏まえた臨床研究の基盤整備等を推進したか。</p> <p>&lt;モニタリング指標&gt;</p> <p>・左記の評価軸に係る取組状況等</p>	<p>の全容解明プロジェクト)</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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、コモンマーマ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。</li> <li>・H30年度は中間・事後評価があり、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。</li> <li>・H30年度に得られた主な成果は以下の通りである。 <ul style="list-style-type: none"> <li>- 脳に内視鏡カメラを埋め、マーマセット自由行動環境下において、大脳皮質運動野で最大240個の脳の神経細胞が働く様子を「見える化」する技術を開発した。</li> <li>- 早期のアルツハイマー病患者で、眼窩前頭皮質に蓄積するタウタンパク質が多い患者ほど、同部位の神経細胞死や、その部位と他の脳部位を結ぶ線維の障害が重度で、意欲低下も重症であることがわかった。</li> </ul> </li> </ul> <p>■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）</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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。</li> </ul> <p>■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）</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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。</li> <li>・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。</li> </ul> <p>■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）</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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特性を踏まえ、研究開発の基盤の整備を進めた。</li> </ul>	<p>評価：B</p> <p>PDPSPPOによる適切な研究開発マネジメント、研究者のリソースや情報の共有促進、さらに、関係省庁、有識者、企業との密な意見交換等のもとで事業運営方針や事業間連携の加速を図ったことなどにより、精神・神経分野のライフステージにわたる研究を行い、遺伝性の前頭側頭型認知症（FTDP-17）患者の病態解明、認知機能とリスク要因の解析、思春期における精神神経の発達の特徴等、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等国際的な枠組み連携、ファンディング機関同士の連携に基づくシンポジウムの開催、国際会議の開催を実施するなどの国際連携、若手向け公募の実施、若手研究者交流会等の交流・人材育成を図った。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。</p> <p>■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）</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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。</li> </ul>	
---	---	--	---	---	--	--

	<p>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ために必要な措置を講じる。</p>	<p>整備を行うとともに、疾患の臨床情報等をもとに中核拠点・臨床研究を担当する研究開発実施機関等の研究に係る成果を長期的な活用を見据えて蓄積・共有する。</p>		<ul style="list-style-type: none"> <li>・平成 30 年度に得られた主な成果は以下の通りである</li> <li>➤ 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。</li> <li>➤ 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。</li> </ul> <p>■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</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・＜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組み＞ 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。</li> <li>・＜脳科学研究戦略推進プログラムにおける取組み＞融合脳事業では、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。</li> <li>・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。</li> </ul> <p>■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）</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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。</li> <li>・平成 30 年度に得られた主な成果は以下の通りである</li> <li>➤ ヒト脳の回路機構を細胞レベルから理解するため、様々な手法が適用可能なげっ歯類での結果をヒトに近い霊長類を用いた検証研究ヘトランスレートできるよう、マーモセットとマウスでほぼ同一の意思決定・行動選択課題を構築し、これらの動物が課題実行中の神経軸索活動を 2 光子カルシウムイメージングする技術を開発した。</li> </ul>	<p>■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）</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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。</li> </ul> <p>&lt;今後の課題&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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。</li> </ul> <p>■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）</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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。</li> </ul> <p>&lt;今後の課題&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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。</li> </ul> <p>■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）</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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。</li> </ul>	
--	--	--	--	--	---	--

				<p>■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</p> <p>&lt;戦略的国際脳科学研究推進プログラムにおける取り組み&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>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。</li> </ul> <p>■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</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>&lt;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&gt; 中間・事後評価をふまえ、疾患モデルマーカーセット、脳の構造・機能マップ作成にむけて後半 5 年間の実施体制等の見直しを行った。</li> <li>&lt;戦略的国際脳科学研究推進プログラムにおける取り組み&gt;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。</li> </ul>	<p>■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</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>疾患の臨床情報をまとめて研究に活用する体制を構築しているのは評価できる。</li> </ul> <p>&lt;今後の課題&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>引き続き、より効率的、体系的な体制整備、強化を進める。</li> </ul> <p>■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）</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>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。</li> </ul> <p>&lt;今後の課題&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>引き続き、障害としての精神・神経疾患の理解と治療法のための研究を推進する。</li> </ul> <p>■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</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>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は評価できる。</li> </ul> <p>■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</p>	
--	--	--	--	--	--	--

					<p>&lt;今後の課題&gt;          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・神経疾患の理解を目指す。</p>
<p>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。</p>	<p>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</p>	<p>また、国内外の機関との連携も活用しながら脳画像を用いた解析やヒトと霊長類の種間比較等にも取り組み、ヒト脳の動作原理等の神経回路レベルでの解明を目指す。これらにより、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・治療法を導出する。さらに、本統合プロジェクト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していく。これら基礎研究と臨床研究の双方向性の連携を通じ、精神・神経疾</p>	<p>&lt;評価軸&gt;          ・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。          &lt;モニタリング指標&gt;          ・左記の評価軸に係る取組状況等</p>	<p>■認知症やうつ病などの精神・神経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          &lt;障害者対策総合研究開発事業における取り組み&gt;          ・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。          ・平成30年度に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。          &lt;脳科学研究戦略推進プログラムにおける取り組み&gt;          ・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。          ・平成30年度に得られた主な成果は以下の通りである。          ▶ 自閉スペクトラム症と統合失調症の病因・病態のオーバーラップの可能性についてゲノム全体でCNVを解析した結果、両疾患の患者の各々約8%で既知の病的CNVと29の共通したゲノム領域で変異を発見し、リスク変異のオーバーラップが存在することを確認した。          ▶ インスリン抵抗性とアルツハイマー病理変化の関係に関する知見を得た。          ■認知症やうつ病などの精神・神経疾患等の適切な治療法の開発          &lt;認知症研究開発事業における取り組み&gt;          ・認知症に伴う行動・心理症状 (Behavioral and Psychological Symptoms</p>	<p>■認知症やうつ病などの精神・神経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。          &lt;今後の課題&gt;          ・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・神経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。          &lt;今後の課題&gt;          ・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。          ■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）</p>

	<p>と臨床研究の連携を促進させる。身体機能障害の代替・回復やリハビリテーションに資する新しい開発研究を推進し、医療現場での効果的な実用化を支援する。</p> <p>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。</p>	<p>患（認知症、うつ病、発達障害等）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、客観的な早期診断法と革新的技術による治療・予防法の開発等を推進する。</p> <p>また、国内の大学及び国立高度専門医療センター等との連携を進め、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への貢献を図る。具体的には、認知症では認知症レジストリや全国的大規模コホート研究などの推進により、病態解明・予防法・治療法開発・ケアに関する研究等を加速する。特に、国内の関連したデータベースやレジストリのさらなる連携による全国展開の推進、</p>	<p>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。</p> <p>&lt;脳科学研究戦略推進プログラムにおける取り組み&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>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。</li> <li>平成 30 年度に得られた主な成果は以下の通りである。</li> </ul> <p>▶ 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。</p> <p>▶ 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 ヶ月で注入側の対側を含む広汎な病変が起こることを示した。対側の病変が脳梁離断やボツリヌス毒素の投与で阻害されることを確認し、治療薬候補の評価法としての可能性を示した。</p> <p>■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）</p> <p>&lt;認知症研究開発事業における取り組み&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>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。</li> <li>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、研究開発をすすめている。</li> </ul> <p>■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）</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>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。</li> </ul> <p>■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、</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>研究機関の連携体制を整備してきたことは評価できる。</li> </ul> <p>■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）</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>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。</li> </ul> <p>■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</p> <p>精神疾患の客観的診断法の確立</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>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。</li> </ul> <p>&lt;今後の課題&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>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に向けて、新規のバイオマーカーや創薬対象化合物の候補等の探索に継続して取り組むとともに、レジストリなどの情報基盤の活用も視野に入れながらバイオマーカーの有効性の検証等に取り組むことが重要である。</li> </ul> <p>■精神疾患の適正な治療法の確立</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>覚せい剤依存患者を対象とした医師主導治験が開始される見込</li> </ul>	
--	---	---	--	--	--