

国立研究開発法人日本医療研究開発機構

中長期目標（第 2 期）（案）

令和 2 年〇月

内 閣 府

文 部 科 学 省

厚 生 労 働 省

経 済 産 業 省

## 目次

I. 政策体系における法人の位置付け及び果たすべき役割.....	2
II. 中長期目標の期間.....	3
III. 研究開発の成果の最大化その他の業務の質の向上に関する事項.....	3
(1) AMED に求められる機能を発揮するための体制の構築等.....	3
(2) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施.....	5
(3) 基金等を活用した中長期的な研究開発の促進等.....	12
IV. 業務運営の効率化に関する事項.....	12
V. 財務内容の改善に関する事項.....	13
VI. その他業務運営に関する重要事項.....	14

※III. (1) ~ (3) の各項目を一定の事業等のまとまりとする。

独立行政法人通則法（平成 11 年法律第 103 号）第 35 条の 4 の規定により、国立研究開発法人日本医療研究開発機構が達成すべき業務運営に関する目標（以下「中長期目標」という。）を定める。

## **I. 政策体系における法人の位置付け及び果たすべき役割**

我が国は、世界最高水準の平均寿命を達成し、人類誰もが願う長寿社会を現実のものとした。世界に先駆けて超高齢社会を迎える我が国にあって、国民が更に健康な生活及び長寿を享受することのできる社会（健康長寿社会）を形成することが急務となっている。

このような背景から、「日本再興戦略- JAPAN is BACK-」（平成 25 年 6 月 14 日閣議決定）において、医療分野の研究開発の司令塔機能を創設することとされ、基礎から実用化まで切れ目ない研究管理の実務を行う独立行政法人の創設等の措置を講ずることが明記された。平成 26 年 5 月の独立行政法人日本医療研究開発機構法（平成 26 年法律第 49 号）の成立を経て、国立研究開発法人日本医療研究開発機構（以下「AMED」という。）が設立された。

AMED は、医療分野の研究開発における基礎的な研究開発から実用化のための研究開発まで一貫した研究開発の推進及びその成果の円滑な実用化並びに医療分野の研究開発が円滑かつ効果的に行われるための環境の整備を総合的かつ効果的に行うため、健康・医療戦略推進本部が決定する医療分野研究開発推進計画に基づき、大学、研究開発法人その他の研究機関の能力を活用して行う医療分野の研究開発及びその環境の整備等の業務を行うことを目的としている。

AMED は、同計画において、医療分野の研究開発及びその環境整備の実施・助成について中核的な役割を担う機関として位置付けられている。同計画に従って、医療分野の研究開発関連予算（国が定めた戦略に基づくトップダウンの研究を行うために、研究者や研究機関に配分される研究費等）を統合プロジェクトとして集約し、基礎から実用化まで切れ目ない研究支援を実施してきたところである。

AMED 設立以降、AMED において基礎から実用化まで一貫した研究開発を推進する体制が構築され、それによりアカデミアのシーズが実用化に至るなど優れた研究開発成果が多数創出されたとされている。一方、これまで、様々な疾患に展開可能なモダリティ（医療技術・手法）等の開発が疾患別の統合プロジェクトにより特定の疾患に分断されていたことなどが指摘されている。

また、世界的に医療分野や生命科学分野で研究開発が加速するとともに AI、ロボット、ビッグデータなどのデジタル技術とデータの利活用の分野のイノベーションが加速し、医療分野への展開が見込まれているとされている。我が国の疾病構造をみると、生活習慣病や老化に伴う疾患といった多因子疾患が国民に大きな影響を与えるようになっており、こうした疾患への対応として、診断や治療に加え、予防や共生の取組も重要であることが指摘されている。

したがって、第 2 期中長期目標期間中においても、AMED は、産学官の中心となり、基礎から実用化まで切れ目ない研究支援を引き続き実施していく。モダリティ等を軸とした統

合プロジェクトに再編し、AIなどデジタル技術の活用を図りつつ、新たな医療技術等を様々な疾患に効果的に展開する。その際には、「予防／診断／治療／予後 QOL」といった開発目的を明確にしつつ研究開発を進める。

加えて、より速やかな研究成果の実用化・医療への展開のため、統合プロジェクト間の研究成果の展開を進めるとともに、関連する研究を実施している研究機関や産業界等との連携を推進していく。

このような AMED に期待されている役割が十分発揮され、世界最高水準の医療の提供、ひいては、健康長寿社会の形成に資することを期待しているものである。

なお、評価に当たっては、下記の目標を踏まえ別途定める評価軸等に基づき実施することとするが、医療分野の研究開発は、長期性や不確実性等といった特性に加え、ヒトを研究対象として健康へ悪影響を及ぼしかねない臨床研究や医薬品医療機器等法に基づく承認申請が必要であるなど、他の研究分野にはない特殊性があることを十分踏まえ、目標の達成度のみならず、達成に向けた過程や成果の影響度等を総合的に評価する。

※政策体系図は別紙のとおり。

## **II. 中長期目標の期間**

AMED の中長期目標の期間は、令和 2 年 4 月から令和 7 年 3 月までの 5 年間とする。

## **III. 研究開発の成果の最大化その他の業務の質の向上に関する事項**

### **(1) AMED に求められる機能を発揮するための体制の構築等**

#### **① 医療に関する研究開発のマネジメントの実現**

疾患を限定しないモダリティ等の 6 つの統合プロジェクト毎に、関係府省の医療分野の研究開発関連予算を集約し、基礎から実用化までの研究開発を一元的かつ一貫してマネジメントする体制を構築する。

具体的には、世界の最新の情勢を把握したプログラムディレクター (PD)、プログラムスーパーバイザー (PS)、プログラムオフィサー (PO) 等を配置し、研究開発のマネジメント体制を構築する。配置された PD 等が、研究の実施、研究動向の把握・調査、シーズの探査・育成研究の強化 (スクリーニングや最適化研究)、優れた基礎研究成果を臨床研究、治験及び産業化へつなげるためのマネジメント (進捗管理・助言、規制対応等) 並びに適切な研究実施のための監視・管理機能などのマネジメント機能を果たす。

各統合プロジェクトにおいて、「予防／診断／治療／予後・QOL」という開発目的を明確にし、ライフステージを俯瞰した健康寿命延伸を意識した取組となるようマネジメントを行う。また、患者や医療現場、研究者、産業界等からのニーズを理事長の下においたアドバイザリーボード等で把握しつつ、AMED Management System (AMS) の活用、トラ

ンスレーショナル・リサーチ (TR) やリバーズ・トランスレーショナル・リサーチ (rTR) による基礎と実用化の橋渡し、研究成果の有効活用や他領域への展開のためのデータシェアの促進などの事業間連携を推進する。

さらに、各統合プロジェクト間の連携を十分に確保する。特に(2)④ゲノム・データ基盤プロジェクト、⑤疾患基礎研究プロジェクト及び⑥シーズ開発・研究基盤プロジェクトについては、他の研究の基礎・基盤となる性格のプロジェクトであることから、情報の共有や研究成果の他の研究への展開を図る。また、科学研究費助成事業、インハウス研究機関や民間企業の研究開発とも連携して統合プロジェクトを推進する。融合領域については、他の資源配分機関とも適切に連携・分担を図る。

2040年の人口動態を見据え、現在及び将来の我が国において社会課題となる疾患分野(がん、生活習慣病(循環器、糖尿病等)、精神・神経疾患、老年医学・認知症、難病、成育、感染症(AMR含む))に関する研究課題については、研究課題採択後に、予算規模や研究状況等を把握し、関係府省において事業の検討等の参考にする。

個別研究課題の選定においてピア・レビューを行うための評価委員会を設置し、評価の質及び公正性・透明性の一層の向上を図り、将来的な成果につながるシーズの育成や人材育成等の視点にも留意しつつ、成果が見込まれる研究課題を選定する。ピア・レビューの方法等について、国内外の知見の収集を行い、これまで各分野で異なっていた評価システムの共通化・最適化を進める。

学会、産業界、他の政府機関等の外部の知見も活用し、国内外の技術開発動向を把握し、シンクタンク機能を果たす。

## ② 研究不正防止の取組の推進

基礎研究及び臨床研究における不正防止の取組を推進するため、専門の部署を置き、自らが配分する研究費により実施される研究に対して、公正かつ適正な実施の確保を図るとともに、他の関係機関と連携を図りながら、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等に努める。

## ③ 研究データマネジメント

研究の進捗状況の把握、研究データの管理(データ入力、集計、解析)、研究成果や知的財産の管理等の研究マネジメントを効率的に実施する。

AMEDが実施した研究開発から得られたデータが持続的に共有されるよう、研究データ基盤のクラウド化をはじめとするデータ共有の取組を推進する。④ゲノム・データ基盤プロジェクトにおいてデータの共有を推進し、その実施状況を踏まえつつ他の統合プロジェクトへの展開を検討する。

## ④ 実用化へ向けた支援

研究成果の実用化に向け、戦略的な知財管理を行うとともに、独立行政法人医薬品医療機器総合機構(PMDA)や官民の支援機関等とも連携して、インキュベーション機能や

産学官連携のマッチング機能を果たす。

具体的には、令和2年度までに研究成果が実用化につながった事例の要因分析や成果活用実績の把握を行い、研究開発マネジメント手法や実用化の支援手法の改善に活用する。また、研究機関の知的財産取得への支援、ホームページ等を活用した研究成果と企業のニーズとのマッチング支援を行う。さらに、PMDA や株式会社 INCJ 等との連携を通じた実用化を促進する取組を行う。これらの取組を実施することにより、令和6年度までの達成目標として、

- ・研究機関の知財取得等件数 100 件
- ・企業とのマッチング成立（協力協定締結、企業導出等）件数 790 件

を目指すものとする。ただし、上記の目標の達成に向けて、知的財産取得への支援、マッチング支援を行う際には、支援対象の質に十分配慮することとする。

## ⑤ 国際戦略の推進

最先端分野における欧米等の研究開発先進国との協力、ゲノム研究におけるアジア諸国との連携をはじめとする国際貢献及び協力は、我が国の研究開発にとっても必要であり、ひいては世界の持続可能な発展につながるものである。加えて、産業化の視点では、真に相手国の医療の発展に寄与する持続的な事業展開を意識しつつ、日本の産業競争力の強化を図る必要がある。

このような認識の下、研究開発の推進にあたり、海外の主要なファンディング機関等の関係機関や専門人材とのネットワーキングを活用するなど適切な国際連携を図る。また、グローバルなデータシェアリングへの戦略的な対応を行う。さらに、海外事務所も活用し国際共同研究の推進・調整や情報収集・発信等を行う。

## (2) 基礎研究から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

推進計画に基づき、疾患を限定しないモダリティ等の6つの統合プロジェクトに再編し、統合プロジェクト毎にプロジェクトを推進する。

### ① 医薬品プロジェクト

医療現場のニーズに応える医薬品の実用化を推進するため、創薬標的の探索から臨床研究に至るまで、モダリティの特徴や性質を考慮した研究開発を行う。このため、新たなモダリティの創出から各モダリティのデザイン、最適化、活性評価、有効性・安全性評価手法や製造技術等の研究開発まで、モダリティに関する基盤的な研究開発を行う。さらに、様々なモダリティに関する技術・知見等を疾患横断的に活用して新薬創出を目指す。また、創薬デザイン技術や化合物ライブラリー、解析機器の共用など創薬研究開発に必要な支援基盤の構築に取り組む。

特に、以下のようなテーマの研究開発に重点的に取り組む。

- ・ 疾患メカニズムに関するタンパク質間相互作用等に着目した創薬標的の探索

- ・ 化合物の構造解析技術や計算科学を活用した創薬デザイン
- ・ 抗体医薬の高機能化・低分子量化や、核酸・中分子医薬のデザイン・合成・評価など、新たなモダリティに関する基盤的な技術
- ・ 新規ドラッグ・デリバリー・システムや、新たなモダリティの活性・物性等評価技術などの周辺技術
- ・ DNA ワクチン等の治療用ワクチン、アジュバント技術
- ・ バイオ医薬品の連続生産技術などの医薬品製造技術
- ・ 免疫チェックポイント阻害剤等の患者層別化に資する、免疫細胞解析とパスウェイ解析等との統合解析による新規バイオマーカー探索技術

これらの取組を実施することにより、令和6年度までの成果目標（KPI）<sup>1</sup>を以下のとおり設定する。

#### <アウトプット>

##### ○シーズ研究に関する指標

- ・ 非臨床POCの取得件数 ○件
- ・ 創薬支援ネットワークの活動による有望創薬シーズの企業導出件数 ○件

##### ○実用化に関する指標

- ・ 臨床POCの取得件数 ○件

##### ○新たなモダリティや先進的な創薬手法に関する指標

- ・ 新モダリティ・先進手法に関する採択課題の割合 ○%

（その他管理指標）

##### ○シーズ研究に関する指標

- ・ 創薬支援ネットワークの活動状況
  - 3独法（理研/基盤研/産総研）による支援の状況
  - 支援継続／終了の状況

##### ○新たなモダリティや先進的な創薬手法に関する指標

- ・ 創薬等の効率化に資する先進手法の開発状況

#### <アウトカム>

##### ○実用化に関する指標

- ・ シーズの企業への導出件数 ○件
- ・ 薬事承認件数（新薬、適応拡大） ○件

---

<sup>1</sup> 研究開発の直接的な成果に関する指標（アウトプット）及び当該プロジェクトによる波及効果も含めた成果に関する指標（アウトカム）を設定する。それぞれにつき、数値目標に加え、数値目標は置かないもののPDCAサイクルの中で適時適切に状況を把握し検証の参考とする指標（その他管理指標）を必要に応じて置く。

- 新たなモダリティや先進的な創薬手法に関する指標
  - ・創薬等の効率化に資する先進手法の企業導出件数 ○件
  - (その他管理指標)
- 実用化に関する指標
  - ・研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況

## ② 医療機器・ヘルスケアプロジェクト

AI・IoT技術や計測技術、ロボティクス技術等を融合的に活用し、診断・治療の高度化のための医療機器・システム、医療現場のニーズが大きい医療機器や、予防・高齢者のQOL向上に資する医療機器・ヘルスケアに関する研究開発を行う。また、医療分野以外の研究者や企業も含め適切に研究開発を行うことができるよう、必要な支援に取り組む。特に、以下のようなテーマの研究開発に重点的に取り組む。

- ・ 計測、微細加工、生体親和性の高い素材等、医療分野への応用を目指した要素技術
- ・ 検査・診断の簡易化や、精度向上・常時計測等の早期化に関する技術
- ・ 診断・治療の高度化や一体化のための、デジタル化・データ利活用や複数機器・システムの統合化等に関する技術
- ・ 生活習慣病等の予防のための行動変容を促すデバイス・ソフトウェア
- ・ 高齢化により衰える機能の補完やQOL向上のための機器

これらの取組を実施することにより、令和6年度までの成果目標（KPI）を以下のとおり設定する。

### <アウトプット>

- シーズ研究に関する指標
  - ・非臨床POCの取得件数 ○件
- 医療機器の開発に関する指標
  - ・クラスⅢ・Ⅳの医療機器の開発を目指す採択課題の割合 ○%
- ヘルスケア関連機器等の開発に関する指標
  - ・ヘルスケア関連機器等の実証段階 クリア件数 ○件

### <アウトカム>

- シーズ研究に関する指標
  - ・シーズの他事業や企業等への導出件数 ○件
- 医療機器の開発に関する指標
  - ・クラスⅢ・Ⅳ医療機器の薬事承認件数 ○件
- ヘルスケア関連機器等の開発に関する指標
  - ・ヘルスケア関連機器等の上市等の件数 ○件

(その他管理指標)

○医療機器の開発に関する指標

- ・研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況

### ③ 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト

再生・細胞医療の実用化に向け、細胞培養・分化誘導等に関する基礎研究、疾患・組織別の非臨床・臨床研究や製造基盤技術の開発、疾患特異的 iPS 細胞等を活用した病態解明・創薬研究、必要な基盤構築を行う。また、遺伝子治療について、遺伝子導入技術や遺伝子編集技術に関する研究開発を行う。さらに、これらの分野融合的な研究開発を推進する。

特に、以下のようなテーマの研究開発に重点的に取り組む。

- ・ 幹細胞の特性に応じた細胞株の樹立、培養、分化誘導等に関する基礎的な技術
- ・ 疾患特異的 iPS 細胞の適応拡大に資する研究開発、灌流培養を用いた臓器チップの開発、及び病態解明・創薬研究等への応用
- ・ 再生・細胞医療や創薬研究等に用いる細胞原料を含む生体材料や研究資源の品質管理・供給基盤構築
- ・ 細胞組織の三次元化等の臓器再生に関する技術
- ・ 遺伝子治療に関する安全で高生産かつ安価な国産宿主細胞樹立及び標準的なウイルスベクターの構築
- ・ オフターゲットでの変異発現等の既存の技術課題への対応可能な遺伝子編集技術、及びそれらを応用した免疫細胞機能の強化や幹細胞を経ない分化誘導等の、再生・細胞医療と遺伝子治療の融合研究を進めるための基礎的な技術
- ・ 大量培養や精製、品質評価・管理手法等の製造関連技術

これらの取組を実施することにより、令和6年度までの成果目標（KPI）を以下のとおり設定する。

<アウトプット>

○シーズ研究に関する指標

- ・ 非臨床POCの取得件数 ○件 （うち遺伝子治療 ○○件）
- ・ 研究成果の科学誌（インパクトファクター○以上）への論文掲載件数 ○件

○実用化に関する指標

- ・ 治験に移行した研究課題数 ○件 （うち遺伝子治療 ○件）

(その他管理指標)

○シーズ研究に関する指標

- ・ 研究成果の科学誌（インパクトファクター○未満等の他の科学誌）への論文掲載状況

○実用化に関する指標

- ・臨床研究に移行した研究課題数（うち遺伝子治療の研究課題数）

<アウトカム>

○シーズ研究に関する指標

- ・シーズの他事業への導出件数 ○件

○実用化に関する指標

- ・企業へ導出される段階に至った研究課題数 ○件  
（うち遺伝子治療○件）（うち企業へ導出された件数○件）
- ・薬事承認件数（新薬、適応拡大） ○件以上  
（その他管理指標）

○シーズ研究に関する指標

- ・関連する国際的なガイドライン等策定への参画状況

○実用化に関する指標

- ・研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況
- ・遺伝子治療の製造に関する要素技術の研究開発の進展状況

#### ④ ゲノム・データ基盤プロジェクト

健常人及び疾患のバイオバンク・コホート等の情報に加え、臨床研究等を行う際のコホート・レジストリ、臨床情報等を統合し、研究開発を推進するために必要なデータ基盤を構築する。その際、すべてのゲノム・データ基盤においてデータシェアリングを進め、特に、AMEDで行う研究開発については、研究成果として得られたデータを共有する。

こうしたゲノム・データ基盤の整備・利活用を促進し、ライフステージを俯瞰して遺伝子変異・多型と疾患の発症との関連等から疾患の発症・重症化予防、診断、治療等に資する研究開発を推進することで、病態解明を含めたゲノム医療、個別化医療の実現を目指す。

また、レジストリ等の医療データを活用した新たな診断・介入法の実装に向けた研究、無形の医療技術やそれに関連するシステムの改善、改良を目指したデータ収集等の研究を行う。

特に、以下のようなテーマの研究開発に重点的に取り組む。

- ・全ゲノム解析を活用したがんの新規原因遺伝子等の探索や、さらにオミックス解析も活用した難病等の新規原因遺伝子等の探索による、病態解明、早期診断に資する研究
- ・ゲノム解析等を活用した糖尿病、認知症等の多因子疾患に関する予防、早期診断、治療最適化に資する研究

これらの取組を実施することにより、令和6年度までの成果目標（KPI）を以下のとおり設定する。

#### <アウトプット>

##### ○データ基盤を活用した研究に関する指標

- ・非臨床POCの取得件数 ○件
- ・臨床POCの取得件数 ○件
- ・研究成果の科学誌（インパクトファクター○以上）への論文掲載件数 ○件
- ・新たな疾患発症メカニズム解明件数 ○件
- ・新たな疾患関連遺伝子・薬剤関連遺伝子の同定数 ○件

（その他管理指標）

##### ○データ基盤構築・活用に関する指標

- ・データ基盤構築の状況（連携、解析体制を含む）
- ・アカデミア、企業によるデータ基盤の利活用実績

##### ○データ基盤を活用した研究に関する指標

- ・研究成果の科学誌（インパクトファクター○未満等の他の科学誌）への論文掲載状況

#### <アウトカム>

##### ○データ基盤を活用した研究に関する指標

- ・シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数 ○件
- ・臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数 ○件
- ・疾患の原因となる遺伝子変異に基づく新規の診断・治療法の開発件数 ○件

### ⑤ 疾患基礎研究プロジェクト

医療分野の研究開発への応用を目指し、脳機能、免疫、老化等の生命現象の機能解明や、様々な疾患を対象にした疾患メカニズムの解明等のための基礎的な研究開発を行う。これらの研究開発成果を臨床研究開発や他の統合プロジェクトにおける研究開発に結び付けるとともに、臨床上の課題を取り込んだ研究開発を行うことにより、基礎から実用化まで一貫した循環型の研究を支える基盤を構築する。

これらの取組を実施することにより、令和6年度までの成果目標（KPI）を以下のとおり設定する。

#### <アウトプット>

##### ○シーズ研究に関する指標

- ・研究成果の科学誌（インパクトファクター○以上）への論文掲載件数 ○件
- （その他管理指標）

##### ○シーズ研究に関する指標

- ・研究成果の科学誌（インパクトファクター○未満等の他の科学誌）への論文掲載

状況

<アウトカム>

○シーズ研究に関する指標

- ・シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数 ○件

## ⑥ シーズ開発・研究基盤プロジェクト

アカデミアの組織・分野の枠を超えた研究体制を構築し、新規モダリティの創出に向けた画期的なシーズの創出・育成等の基礎的研究を行うとともに、国際共同研究を実施し、臨床研究開発や他の統合プロジェクトにおける研究開発に結びつける。

また、橋渡し研究支援拠点や臨床研究中核病院において、シーズの発掘・移転や質の高い臨床研究・治験の実施のための体制や仕組みを整備するとともに、リバース・トランスレーショナル・リサーチ (rTR)、実証研究基盤の構築を推進し、基礎研究から臨床研究まで一貫した循環型の研究支援体制や研究基盤を整備する。

特に、異分野・モダリティ融合的なシーズの研究開発や、上記①～④のプロジェクトに将来的に繋がらうるシーズの継続的発掘、育成に取り組む。

これらの取組を実施することにより、令和6年度までの成果目標 (KPI) を以下のとおり設定する。

<アウトプット>

○シーズ研究に関する指標

- ・研究成果の科学誌 (インパクトファクター○以上) への論文掲載件数 ○件

○研究基盤に関する指標

- ・医師主導治験 (体外診断用医薬品については臨床性能試験) の段階に移行した件数 ○件

(その他管理指標)

○シーズ研究に関する指標

- ・研究成果の科学誌 (インパクトファクター○未満等の他の科学誌) への論文掲載状況

<アウトカム>

○シーズ研究に関する指標

- ・シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数 ○件

○研究基盤に関する指標

- ・医薬品等の薬事承認申請の件数 ○件

### **(3) 基金等を活用した中長期的な研究開発の促進等**

#### **① 政府出資を活用した産学官共同での医薬品・医療機器の研究開発の促進等**

政府出資を活用し、革新的な医薬品・医療機器等の創出に向けて、産学官が連携して取り組む研究開発及びその環境の整備を促進する。

当該事業を進めるに当たっては、実用化が困難な革新的医薬品・医療機器等の実用化開発の不確実性を踏まえ、研究開発に係る事業計画・事業目標を含む事業採択のための審査、事業の進捗状況の確認や進捗過程における課題の相談、事業終了時の事業目標等の達成状況等の評価など、政府出資を活用して研究開発等を支援するために必要な実施体制を構築する。また、その進捗状況については、内閣府、文部科学省、厚生労働省及び経済産業省（以下「所管府省」という。）に適宜報告するとともに、所管府省から改善を求められた場合には、これに適切に対応する。

#### **② 健康・医療分野におけるムーンショット型研究開発等**

科学技術・イノベーション創出の活性化に関する法律（平成20年法律第63号）第27条の2第1項に基づき、国から交付される補助金により基金を設けた。これを利用して同項に規定する特定公募型研究開発業務として、健康・医療戦略推進本部が決定する目標の下、我が国発の破壊的イノベーションの創出を目指し、従来技術の延長にない、より大胆な発想に基づく挑戦的な研究開発（ムーンショット）を推進するほか、産学官共同による研究開発を推進する。

## **IV. 業務運営の効率化に関する事項**

### **(1) 業務改善の取組に関する事項**

#### **① 組織・人員体制の整備**

AMED に求められる機能（研究開発のマネジメント（データベースの構築を含む。）、研究不正の防止、研究データマネジメント、実用化へ向けた支援、国際戦略の推進）を果たすため、適切な組織・人員体制を整備することとする。また、関連する政策や医療分野の研究開発動向の変化、業務の進捗状況に応じ機動性・効率性が確保できるような柔軟な組織・人員体制を整備することとする。

特に、AMED におけるマネジメントにおいて重要な役割を果たすPD、PS、PO等、高度の専門性が必要とされる者については、産学官からの優れた人材の登用を積極的に行うこととする。また、利益相反の防止や透明性の確保にも配慮しつつ、外部人材を登用するものとする。

#### **② PDCA サイクルの徹底**

AMED で行っている事業については厳格な評価を行い、不断の業務改善を行うこととする。評価に当たっては、外部の専門家・有識者を活用するなど適切な体制を構築することとする。また、評価結果をその後の事業改善にフィードバックするなど、PDCA サイク

ルを徹底する。

### ③ 適切な調達の実施

調達案件については、主務大臣や契約監視委員会によるチェックの下、一般競争入札を原則としつつも、随意契約できる事由を会計規程等において明確化し、公正性・透明性を確保しつつ、合理的な調達を実施する。公正かつ透明な調達手続による適切で、迅速かつ効果的な調達を実現する観点から、AMED が策定した「調達等合理化計画」に基づく取組を着実に実施する。

### ④ 外部能力の活用

費用対効果、専門性等の観点から、AMED 自ら実施すべき業務、外部の専門機関の活用が適切と考えられる業務を精査し、外部の専門機関の活用が適切と考えられる業務については、外部委託を活用するものとする。

### ⑤ 業務の効率化

運営費交付金を充当して行う事業については、新規に追加されるもの、拡充分等は除外した上で、一般管理費（人件費、公租公課等の所要額計上を必要とする経費及び特殊要因により増減する経費を除く。）は毎年度平均で2%以上、事業費は毎年度平均で1%以上の効率化を達成する。

また、総人件費については、政府の方針に従い、必要な措置を講ずるものとする。

さらに、給与水準については、ラスパイレス指数、役員報酬、給与規程、俸給表及び総人件費を公表するとともに、国民に対して納得が得られるよう説明することとする。また、給与水準の検証を行い、これを維持する合理的な理由がない場合には必要な措置を講ずることにより、給与水準の適正化に取り組み、その検証結果や取組状況を公表するものとする。

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

## (2) 業務の電子化に関する事項

電子化の促進等により事務手続きの簡素化・迅速化を図るとともに、AMED の制度利用者の利便性の向上に努めることとする。また、幅広い ICT 需要に対応できる AMED 内情報ネットワークの充実を図ることとする。情報システム、重要情報への不正アクセスに対する十分な強度を確保するとともに、震災等の災害時への対策を確実に行うことにより、業務の安全性、信頼性を確保することとする。

## V. 財務内容の改善に関する事項

### (1) 運営費交付金の適切な執行に向けた取組

各年度期末における運営費交付金債務に関し、その発生要因等を厳格に分析し、減少に向けた努力を行うこととする。

## **(2) 保有資産の処分等**

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

# **VI. その他業務運営に関する重要事項**

## **(1) 内部統制に係る体制の整備**

内部統制については、法人の長によるマネジメントを強化するための有効な手段の一つであることから、法人の長による法人運営の基本理念／運営方針／職員の行動憲章を定めるなど、必要な取組を推進する。この際、「独立行政法人の業務の適正を確保するための体制等の整備」（平成 26 年 11 月 28 日付け総務省行政管理局長通知）等に通知した事項を参考にするものとする。

## **(2) コンプライアンスの推進**

AMED が医療分野の研究開発等の中核的な役割を果たしていくためには、独立行政法人制度や国の制度等の法令等様々なルールを遵守し適切に行動していく必要がある。このため、コンプライアンス体制について、必要な規程を整備するとともに、定期的な取組状況の点検や職員の意識浸透状況の検証を行い、適宜必要な見直しを行う。

## **(3) 情報公開の推進等**

AMED の適正な業務運営及び国民からの信頼を確保するため、適切かつ積極的に情報の公開を行うとともに、個人情報等の適切な保護を図る取組を推進する。具体的には、独立行政法人等の保有する情報の公開に関する法律（平成 13 年法律第 140 号）及び独立行政法人等の保有する個人情報の保護に関する法律（平成 15 年法律第 59 号）に基づき、適切に対応するとともに、職員への周知徹底を行う。

## **(4) 情報セキュリティ対策の推進**

政府の情報セキュリティ対策における方針（情報セキュリティ対策推進会議の決定等）を踏まえ、研修を行う等、適切な情報セキュリティ対策を推進する。

## **(5) 職員の意欲向上と能力開発等**

機構における業務のノウハウを継承・蓄積し、業務を効率的・効果的に進めるため、医療分野の研究開発のマネジメントを行う人材の確保・育成方策を策定し、人材確保・育成を進める。

個人評価においては、適切な目標を設定し、その達成状況を多面的かつ客観的に適切

にレビューすることにより、評価結果を賞与や昇給・昇格に適切に反映させるとともに、職員の勤労意欲の向上を図ることとする。また、職員の能力開発を図るため、業務を行う上で必要な知識の取得に向けた研修の機会を設けるなど、当該業務実施に必要な知識等の獲得に資する能力開発に努めるものとする。

また、女性の活躍を促進するための取組を推進する。

## 別添：用語集

- ARO : Academic Research Organization の略  
研究機関、医療機関等を有する大学等がその機能を活用して医薬品開発等を支援する組織
- FIH : First in Human の略  
医薬品、医療機器等の臨床研究及び治験において人に初めて投与（使用）すること
- GCP : Good Clinical Practice の略  
医薬品、医療機器等の承認申請の際に提出すべき資料収集等のために行われる臨床研究及び治験が、十分な倫理的配慮の下に科学的に適正に実施されるために必要な事項を定めたもの
- ICH : International Conference on Harmonization of Technical Requirements for Registration of Pharmaceuticals for Human Use の略  
日米 EU 医薬品規制調和国際会議
- ICT : Information and Communication Technology の略  
情報通信技術
- PMDA : Pharmaceuticals and Medical Devices Agency の略  
独立行政法人医薬品医療機器総合機構。国民保健の向上に貢献することを目的として、医薬品の副作用等による健康被害に対する迅速な救済、医薬品・医療機器等の品質・有効性・安全性に対する審査、市販後の安全性に関する情報の収集・分析・提供を行っている。
- ゲノム  
遺伝子（gene）と染色体（chromosome）から合成された言葉で、DNAの全ての遺伝情報のこと
- ゲノム医療  
ヒトの遺伝情報（ゲノム情報）を利用して、個々の患者の薬剤に対する反応性や副作用を予測したり、患者ごとの罹患予想に基づいた予防等を行う医療
- 治験  
医薬品や医療機器等の製造販売承認申請に際して提出すべき資料のうち、臨床試験の試験成績に関する資料の収集を目的として実施する臨床試験

- バイオマーカー  
客観的に測定され、評価される特性値であり、正常な生物学的プロセス、病理学的プロセス、又は治療的処置に対する薬理学的反応の指標
- バイオリソース  
研究に使われる実験動物や植物、細胞や遺伝子、微生物等のこと
- ピア・レビュー  
専門分野の近い複数の研究者による審査
- 非臨床試験  
臨床研究及び治験へと進むために、品質、有効性及び安全性を評価・証明するための科学的データを提供するものであり、動物を使った試験や、細胞培養等を用いた試験管内試験のこと
- 臨床研究  
医療における疾病の予防方法、診断方法及び治療方法の改善、疾病原因及び病態の理解並びに患者の生活の質の向上を目的として実施される医学系研究であって、人を対象とするもの
- メディカルアーツ  
医療の有効性、安全性、効率性のための技術又はシステム（例えば、外科、がん、看護、リハビリ等の新たな医療技術又はソフトウェアの開発など）
- レギュラトリーサイエンス  
科学技術の成果を人と社会に役立てることを目的に、根拠に基づく的確な予測、評価、判断を行い、科学技術の成果を人と社会との調和の上で最も望ましい姿に調整するための科学。（第4期科学技術基本計画）特に、医薬品、医療機器などの分野については、医療分野の研究開発の成果の実用化に際し、その品質、有効性及び安全性を科学的知見に基づき適正かつ迅速に予測、評価及び判断することに関する科学（健康・医療戦略推進法第13条第2項）

# 日本医療研究開発機構に係る政策体系図

## 健康・医療戦略推進本部

- ①健康・医療戦略の案の作成及び実施の推進
- ②医療分野研究開発推進計画の作成及び実施の推進
- ③医療分野の研究開発等の資源配分方針
- ④独法の理事長・監事の任命及び中期目標の策定に当たっての主務大臣への意見等

### 健康・医療戦略（閣議決定）

- ・ 政府が総合的かつ長期的に講ずべき(1)及び(2)に関する施策の大綱
- ・ その他、(1)及び(2)に関する施策を総合的に推進するために必要な事項

健康・医療戦略に即して、  
医療分野の研究開発等について  
具体的な計画を本部で決定

(1)医療分野の研究開発とその環境整備・成果の普及  
(2)健康長寿社会形成に資する新たな産業活動の創出・活性化（海外展開等）とその環境整備

省庁横断的な  
総合調整



各府省

### 医療分野研究開発推進計画（本部決定）

- ・ 医療分野の研究開発等に関する施策についての基本的な方針
  - ・ 医療分野の研究開発等について政府が集中的かつ計画的に講ずべき施策
- ※機構が医療分野の研究開発等の実施・助成において中核的な役割を担うよう作成

予算を始めとした総  
合調整

医療分野の研究開発とその環境整備・成果の普及

推進計画に基づき、  
機構の業務運営の基本方  
針（本部決定）を提示

### 日本医療研究開発機構

推進計画及び毎年度の予算の基本方針に  
基づき、独法への財源措置  
（内閣府・文科・厚労・経産・総務）