

国立研究開発法人日本医療研究開発機構に関する評価軸等について（第2期）（案）

中長期目標（第2期）（案）	評価軸(案)	評価指標(案)	モニタリング指標(案)
<p><b>Ⅲ. 研究開発の成果の最大化その他の業務の質の向上</b></p> <p><b>（1）AMED に求められる機能を発揮するための体制の構築等</b></p> <p><b>① 医療に関する研究開発のマネジメントの実現</b></p> <p>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。</p> <p>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。</p> <p>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</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 配置された PD、PS、PO 等が、プロジェクトマネジメント機能を果たしたか。</li> <li>• 各統合プロジェクトにおいて、個々の事業・研究課題の「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ったか。</li> <li>• 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たか。</li> <li>• AMS の活用、基礎と実用化の橋渡し、データシェアの促進などの事業間連携を推進したか。</li> <li>• 各統合プロジェクト間の連携を十分に確保したか。</li> <li>• 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シーズ創出・研究基盤プ</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 研究・経営評議会の取組状況</li> <li>• プロジェクトマネジメントの取組状況</li> <li>• アドバイザリーボードの取組状況</li> <li>• 事業間の連携の進捗状況</li> <li>• 各統合プロジェクト間の連携の進捗状況</li> <li>• 左記のプロジェクトにおける情報共有および研究成果の他研究への展開に向けた取組状況</li> <li>• 科学研究費助成事業、インハウス研究機関や民間企業における研究開発との</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• PDPSP0 会議実施回数</li> <li>• 複数の事業間の連絡会・シンポジウム等の実施回数</li> <li>• 統合プロジェクト全体の PDPSP0 会議等の実施回数</li> <li>• 複数の統合プロジェクトの合同 PDPSP0 会議等の実施回数</li> <li>• 評価委員会の設置数</li> <li>• 評価委員会の開催実施回数</li> </ul>

中長期目標（第2期）（案）	評価軸(案)	評価指標(案)	モニタリング指標(案)
<p>理事長の下においたアドバイザ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) やリバース・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。</p> <p>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。</p> <p>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。</p> <p>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。</p> <p>学会、産業界、他の政府機関等の外部の知見も</p>	<p>プロジェクトについて、情報の共有や研究成果の他の研究への展開を図ったか。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• 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したか。</li> <li>• 融合領域について、他の資源配分機関とも適切に連携・分担を図ったか。</li> <li>• 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に関する研究課題の状況を把握し、事業の検討等の参考にしたか。</li> <li>• 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したか。</li> <li>• 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・最適化を進めたか。</li> <li>• 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したか。</li> </ul>	<p>連携に関する進捗状況</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• 融合領域に関する他の資源配分機関との取組状況</li> <li>• 我が国において社会課題となる疾患分野に関する研究課題についての把握・活用状況</li> <li>• 個別研究課題の選定における評価委員会の設置・実施状況</li> <li>• ピア・レビュー方法等における評価システムの共通化・最適化に関する取組状況</li> <li>• シンクタンク機能に関する取組状況</li> </ul>	

中長期目標（第2期）（案）	評価軸(案)	評価指標(案)	モニタリング指標(案)
<p>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。</p>			
<p><b>② 研究不正防止の取組の推進</b>  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。</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 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ったか。</li> <li>• 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に努めたか。</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 機構で実施されている研究の公正かつ適正な実施の確保に向けた取組状況</li> <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>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 研究不正防止に係る説明会の開催回数及び受講者数</li> <li>• 研究倫理教育プログラムの履修確認報告された課題数</li> </ul>
<p><b>③ 研究データマネジメント</b>  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。</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 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したか。</li> <li>• 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に向けた取組を推進したか。</li> <li>• ④ゲノム・データ基盤プロジェクトにおけるデータ共有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したか。</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 研究データマネジメントの取組状況</li> <li>• 研究データ基盤のクラウド化をはじめとしたデータ共有に関する取組状況</li> <li>• 他の統合プロジェクトへの展開の検討状況</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 研究データ管理を行うデータマネージャー（DM）研修の実施状況（回数及び人数）</li> </ul>
<p><b>④ 実用化へ向けた支援</b>  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</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 研究成果の実用化に向け、戦略的な知財管理を行ったか。</li> <li>• 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したか。</li> <li>• 令和3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したか。</li> <li>• 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(P)企業とのマッチング支援を行っ</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 知的財産支援の実施状況</li> <li>• 研究機関の知財取得等件数</li> <li>• 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の取組状況</li> <li>• 企業とのマッチング成立件数</li> <li>• 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向けた取組状況</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 知的財産管理・相談窓口への相談件数</li> <li>• PMDA、株式会社 INCJ と連携した出口戦略の策定・助言数</li> </ul>

中長期目標（第2期）（案）	評価軸(案)	評価指標(案)	モニタリング指標(案)
<p>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、</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>研究機関の知財取得等件数 100 件</li> <li>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</li> </ul> <p>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。</p>	<p>たか。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>PMDA、株式会社 INCJ との連携を通じた実用化を促進する取組を行ったか。</li> </ul>		
<p><b>⑤ 国際戦略の推進</b></p> <p>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。</p> <p>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ク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。</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>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クを活用するなどの国際連携を図ったか。</li> <li>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ったか。</li> <li>海外事務所を活用した国際共同研究の推進・調整や情報収集・発信等を行ったか。</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>国際戦略の検討状況</li> <li>諸外国との関係構築への取組状況</li> <li>グローバルなデータシェアリングへの取組状況</li> <li>海外事務所を活用した共同研究や情報収集・発信への取組状況</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>相手国への派遣研究者数</li> <li>相手国からの受け入れ研究者数</li> <li>参加している国際コンソーシアムの数</li> <li>開催した国際ワークショップの数</li> </ul>
<p><b>(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</b></p> <p>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。</p>			

中長期目標（第2期）（案）	評価軸(案)	評価指標(案)	モニタリング指標(案)
<p><b>① 医薬品プロジェクト</b></p> <p>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。</p> <p>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。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>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</li> <li>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</li> <li>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</li> <li>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</li> <li>DNA ワクチン等の治療用ワクチン、アジュバント技術</li> <li>バイオ医薬品の連続生産技術などの医薬品製造技術</li> <li>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</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>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ったか。</li> <li>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したか。</li> <li>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んだか。</li> </ul>	<p>&lt;アウトプット&gt;</p> <p>○シーズ研究に関する指標</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>非臨床 POC の取得件数 ○件</li> <li>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</li> </ul> <p>○実用化に関する指標</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>臨床 POC の取得件数 ○件</li> </ul> <p>○新たなモダリティや先進的な創薬手法に関する指標</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>新モダリティ・先進手法に関する採択課題の割合 ○%</li> </ul> <p>(その他管理指標)</p> <p>○シーズ研究に関する指標</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>創薬支援ネットワークの活動状況 <ul style="list-style-type: none"> <li>- 3 独法（理研/基盤研/産総研）による支援の状況</li> <li>- 支援継続/終了の状況</li> </ul> </li> </ul> <p>○新たなモダリティや先進的な創薬手法に関する指標</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>創薬等の効率化に資する先進手法の開発状況</li> </ul> <p>&lt;アウトカム&gt;</p> <p>○実用化に関する指標</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>シーズの企業への導出件数 ○件</li> <li>薬事承認件数（新薬、適応拡大） ○件</li> </ul> <p>○新たなモダリティや先進的</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 へのレギュラトリーサイエンス (RS) 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> <li>左記の評価軸に係る取組状況</li> </ul>

中長期目標（第2期）（案）	評価軸(案)	評価指標(案)	モニタリング指標(案)
<p>術</p> <p>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。</p> <p>&lt;アウトプット&gt;</p> <p>○シーズ研究に関する指標</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・ 非臨床 POC の取得件数 ○件</li> <li>・ 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</li> </ul> <p>○実用化に関する指標</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・ 臨床 POC の取得件数 ○件</li> </ul> <p>○新たなモダリティや先進的な創薬手法に関する指標</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・ 新モダリティ・先進手法に関する採択課題の割合 ○%</li> </ul> <p>（その他管理指標）</p> <p>○シーズ研究に関する指標</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・ 創薬支援ネットワークの活動状況 <ul style="list-style-type: none"> <li>- 3独法（理研/基盤研/産総研）による支援の状況</li> <li>- 支援継続/終了の状況</li> </ul> </li> </ul> <p>○新たなモダリティや先進的な創薬手法に関する指標</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・ 創薬等の効率化に資する先進手法の開発状況</li> </ul> <p>&lt;アウトカム&gt;</p> <p>○実用化に関する指標</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・ シーズの企業への導出件数 ○件</li> <li>・ 薬事承認件数（新薬、適応拡大） ○件</li> </ul> <p>○新たなモダリティや先進的な創薬手法に関する指標</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・ 創薬等の効率化に資する先進手法の企業導出</li> </ul>		<p>な創薬手法に関する指標</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・ 創薬等の効率化に資する先進手法の企業導出件数 ○件</li> </ul> <p>（その他管理指標）</p> <p>○実用化に関する指標</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・ 研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況</li> </ul>	

中長期目標（第2期）（案）	評価軸(案)	評価指標(案)	モニタリング指標(案)
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			
<p><b>② 医療機器・ヘルスケアプロジェクト</b></p> <p>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。</p> <p>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。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>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</li> <li>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</li> <li>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</li> <li>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</li> <li>高齢化により衰える機能の補完やQOL向上のための機器</li> </ul> <p>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。</p> <p>&lt;アウトプット&gt;</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>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ったか。</li> <li>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んだか。</li> </ul>	<p>&lt;アウトプット&gt;</p> <p>○シーズ研究に関する指標</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>非臨床 POC の取得件数 ○件</li> <li>医療機器の開発に関する指標</li> <li>クラスⅢ・Ⅳの医療機器の開発を目指す採択課題の割合 ○%</li> <li>ヘルスケア関連機器等の開発に関する指標</li> <li>ヘルスケア関連機器等の実証段階 クリア件数 ○件</li> </ul> <p>&lt;アウトカム&gt;</p> <p>○シーズ研究に関する指標</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>シーズの他事業や企業等への導出件数 ○件</li> <li>医療機器の開発に関する指標</li> <li>クラスⅢ・Ⅳ医療機器の薬事承認件数 ○件</li> <li>ヘルスケア関連機器等の開発に関する指標</li> <li>ヘルスケア関連機器等の上市等の件数 ○件</li> </ul> <p>（その他管理指標）</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 へのレギュラトリーサイエンス（RS）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> <li>左記の評価軸に係る取組状況</li> </ul>

中長期目標（第2期）（案）	評価軸(案)	評価指標(案)	モニタリング指標(案)
<p>○シーズ研究に関する指標</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>非臨床 POC の取得件数 ○件</li> </ul> <p>○医療機器の開発に関する指標</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>クラスⅢ・Ⅳの医療機器の開発を目指す採択課題の割合 ○%</li> </ul> <p>○ヘルスケア関連機器等の開発に関する指標</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>ヘルスケア関連機器等の実証段階 クリア件数 ○件</li> </ul> <p>&lt;アウトカム&gt;</p> <p>○シーズ研究に関する指標</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>シーズの他事業や企業等への導出件数 ○件</li> </ul> <p>○医療機器の開発に関する指標</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>クラスⅢ・Ⅳ医療機器の薬事承認件数 ○件</li> </ul> <p>○ヘルスケア関連機器等の開発に関する指標</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>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）</li> </ul> <p>○医療機器の開発に関する指標</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況</li> </ul>		<p>○医療機器の開発に関する指標</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況</li> </ul>	
<p><b>③ 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト</b></p> <p>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。</p> <p>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。</p> <p>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。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>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</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>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ったか。</li> <li>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とともに、これらの分野融合的な研究開発を推進したか。</li> </ul>	<p>&lt;アウトプット&gt;</p> <p>○シーズ研究に関する指標</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>非臨床 POC の取得件数 ○件（うち遺伝子治療 ○件）</li> <li>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</li> </ul> <p>○実用化に関する指標</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>治験に移行した研究課題数 ○件（うち遺伝子治療 ○件）</li> </ul> <p>（その他管理指標）</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 へのレギュラトリーサイエンス（RS）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> <li>左記の評価軸に係る取組状況</li> </ul>

中長期目標（第2期）（案）	評価軸(案)	評価指標(案)	モニタリング指標(案)
<ul style="list-style-type: none"> <li>• 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</li> <li>• 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</li> <li>• 細胞組織の三次元化等の臓器再生に関する技術</li> <li>• 遺伝子治療に関する安全で高生産かつ安価な国産ホスト細胞樹立及び標準的なウイルスベクターの構築</li> <li>• 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</li> <li>• 大量培養や精製、品質評価・管理手法等の製造関連技術</li> </ul> <p>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。</p> <p>&lt;アウトプット&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○シーズ研究に関する指標</li> <li>• 非臨床 POC の取得件数 ○件（うち遺伝子治療 ○○件）</li> <li>• 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</li> <li>○実用化に関する指標</li> <li>• 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）</li> <li>○シーズ研究に関する指標</li> </ul>		<ul style="list-style-type: none"> <li>○シーズ研究に関する指標</li> <li>• 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</li> <li>○実用化に関する指標</li> <li>• 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）</li> </ul> <p>&lt;アウトカム&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○シーズ研究に関する指標</li> <li>• シーズの他事業への導出件数 ○件</li> <li>○実用化に関する指標</li> <li>• 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）</li> <li>• 薬事承認件数（新薬、適応拡大） ○件以上 （その他管理指標）</li> <li>○シーズ研究に関する指標</li> <li>• 関連する国際的なガイドライン等策定への参画状況</li> <li>○実用化に関する指標</li> <li>• 研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況</li> <li>• 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</li> </ul>	

中長期目標（第2期）（案）	評価軸(案)	評価指標(案)	モニタリング指標(案)
<ul style="list-style-type: none"> <li>• 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</li> <li>○実用化に関する指標</li> <li>• 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）</li> </ul> <p>＜アウトカム＞</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○シーズ研究に関する指標</li> <li>• シーズの他事業への導出件数 ○件</li> <li>○実用化に関する指標</li> <li>• 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）</li> <li>• 薬事承認件数（新薬、適応拡大） ○件以上（その他管理指標）</li> <li>○シーズ研究に関する指標</li> <li>• 関連する国際的なガイドライン等策定への参画状況</li> <li>○実用化に関する指標</li> <li>• 研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況</li> <li>• 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</li> </ul>			
<p><b>④ ゲノム・データ基盤プロジェクト</b></p> <p>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。</p> <p>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・</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 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したか。</li> <li>• 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したか。</li> <li>• ゲノム医療、個別化医療の実現を目指し、ゲノム・データ基盤の整備・利活用を促進し、ライフス</li> </ul>	<p>＜アウトプット＞</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○データ基盤を活用した研究に関する指標</li> <li>• 非臨床 POC の取得件数 ○件</li> <li>• 臨床 POC の取得件数 ○件</li> <li>• 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</li> <li>• 新たな疾患発症メカニズ</li> </ul>	<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 へのレギュラトリーサイエンス（RS）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> <li>• 左記の評価軸に係る取組</li> </ul>

中長期目標（第2期）（案）	評価軸(案)	評価指標(案)	モニタリング指標(案)
<p>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。</p> <p>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。</p> <p>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。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>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</li> <li>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</li> </ul> <p>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。</p> <p>&lt;アウトプット&gt;</p> <p>○データ基盤を活用した研究に関する指標</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>非臨床 POC の取得件数 ○件</li> <li>臨床 POC の取得件数 ○件</li> <li>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</li> <li>新たな疾患発症メカニズム解明件数 ○件</li> <li>新たな疾患関連遺伝子・薬剤関連遺伝子の同定数 ○件</li> </ul> <p>（その他管理指標）</p> <p>○データ基盤構築・活用に関する指標</p>	<p>ペ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したか。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>レジストリ等の医療データ基盤を活用した新たな診断・介入法の実装に向けた研究や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ったか。</li> </ul>	<p>ム解明件数 ○件</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>新たな疾患関連遺伝子・薬剤関連遺伝子の同定数 ○件</li> </ul> <p>（その他管理指標）</p> <p>○データ基盤構築・活用に関する指標</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>データ基盤構築の状況（連携、解析体制を含む）</li> <li>アカデミア、企業によるデータ基盤の利活用実績</li> </ul> <p>○データ基盤を活用した研究に関する指標</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>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</li> </ul> <p>&lt;アウトカム&gt;</p> <p>○データ基盤を活用した研究に関する指標</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>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</li> <li>臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数 ○件</li> <li>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</li> </ul>	<p>状況</p>

中長期目標（第2期）（案）	評価軸（案）	評価指標（案）	モニタリング指標（案）
<ul style="list-style-type: none"> <li>データ基盤構築の状況（連携、解析体制を含む）</li> <li>アカデミア、企業によるデータ基盤の利活用実績</li> </ul> <p>○データ基盤を活用した研究に関する指標</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>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</li> </ul> <p>&lt;アウトカム&gt;</p> <p>○データ基盤を活用した研究に関する指標</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>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</li> <li>臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数 ○件</li> <li>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</li> </ul>			
<p><b>⑤ 疾患基礎研究プロジェクト</b></p> <p>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。</p> <p>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。</p> <p>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。</p> <p>&lt;アウトプット&gt;</p> <p>○シーズ研究に関する指標</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>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</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>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ったか。</li> <li>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たか。</li> <li>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したか。</li> </ul>	<p>&lt;アウトプット&gt;</p> <p>○シーズ研究に関する指標</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>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）</li> </ul> <p>○シーズ研究に関する指標</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>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</li> </ul> <p>&lt;アウトカム&gt;</p> <p>○シーズ研究に関する指標</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>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</li> </ul>	<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 へのレギュラトリーサイエンス（RS）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> <li>左記の評価軸に係る取組状況</li> </ul>

中長期目標（第2期）（案）	評価軸(案)	評価指標(案)	モニタリング指標(案)
<p>(その他管理指標)</p> <p>○シーズ研究に関する指標</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>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</li> </ul> <p>&lt;アウトカム&gt;</p> <p>○シーズ研究に関する指標</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>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</li> </ul>			
<p><b>⑥ シーズ開発・研究基盤プロジェクト</b></p> <p>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。</p> <p>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。</p> <p>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りうるシーズの継続的発掘、育成に取り組む。</p> <p>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。</p> <p>&lt;アウトプット&gt;</p> <p>○シーズ研究に関する指標</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>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ったか。</li> <li>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たか。</li> <li>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したか。</li> <li>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したか。</li> <li>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りうるシーズの継続的発掘、育成に取り組んだか。</li> </ul>	<p>&lt;アウトプット&gt;</p> <p>○シーズ研究に関する指標</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>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</li> <li>○研究基盤に関する指標</li> <li>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</li> </ul> <p>(その他管理指標)</p> <p>○シーズ研究に関する指標</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>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</li> </ul> <p>&lt;アウトカム&gt;</p> <p>○シーズ研究に関する指標</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>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</li> <li>○研究基盤に関する指標</li> <li>医薬品等の薬事承認申請</li> </ul>	<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 へのレギュラトリーサイエンス (RS) 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> <li>左記の評価軸に係る取組状況</li> </ul>

中長期目標（第2期）（案）	評価軸(案)	評価指標(案)	モニタリング指標(案)
<ul style="list-style-type: none"> <li>• 研究成果の科学誌（インパクトファクター〇以上）への論文掲載件数 〇件</li> <li>○研究基盤に関する指標</li> <li>• 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 〇件（その他管理指標）</li> <li>○シーズ研究に関する指標</li> <li>• 研究成果の科学誌（インパクトファクター〇未満等の他の科学誌）への論文掲載状況</li> </ul> <p>&lt;アウトカム&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>○シーズ研究に関する指標</li> <li>• シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数 〇件</li> <li>○研究基盤に関する指標</li> <li>• 医薬品等の薬事承認申請の件数 〇件</li> </ul>		<p>の件数 〇件</p>	
<p><b>（3）基金等を活用した中長期的な研究開発の促進等</b></p> <p><b>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</b></p> <p>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。</p> <p>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</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 実用化が困難な革新的新薬・医療機器等の実用化開発の不確実性を踏まえ、採択のための審査（事業計画・事業目標の審査を含む）、進捗確認や課題の相談、終了時の目標達成状況等の評価（判断基準の策定を含む）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しているか。</li> <li>• フェーズに応じた適切な研究マネジメントを行っているか</li> <li>• AMED の取組状況や事業の進捗状況について、所管府省に適宜報告をしているか。改善を求められた</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 採択のための審査に係る取組状況（事業計画・事業目標の審査状況、審査・管理委員会（仮称）の設置状況を含む）</li> <li>• AMED の取組・事業の進捗や課題の相談に対する対応等の状況</li> <li>• 終了時の評価に係る取組状況（判断基準の策定状況を含む）</li> </ul>	<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 へのレギュラトリーサイエンス（RS）戦略相談を行った研究開発課題数</li> <li>• 委託金回収率（終了した事業の委託金の回収額／終了した事業の委託金支出額）</li> </ul>

中長期目標（第2期）（案）	評価軸(案)	評価指標(案)	モニタリング指標(案)
<p>場合には、これに適切に対応する。</p>	<p>場合は、これに適切に対応しているか。</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>上記の内容についての所管府省への適時適切な報告</li> </ul>	
<p><b>② 健康・医療分野におけるムーンショット型研究開発等</b></p> <p>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。これを活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。</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>国から交付される補助金による基金を活用した研究開発を推進する体制の整備が進捗したか。</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>研究開発を推進する体制整備の進捗状況</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>関係規定の整備状況</li> </ul>