

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 2019（令和元年 6 月 20 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 2019（令和元年 6 月 20 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 0040、文部科学省 0244、厚生労働省 899-3）

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 主要な参考指標情報							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	平成 27 年度	平成 28 年度	平成 29 年度	平成 30 年度	令和元年度		平成 27 年度	平成 28 年度	平成 29 年度	平成 30 年度	令和元年度
応募件数		187 件	135 件	382 件	211 件	190 件	予算額（千円）	12,322,551	11,598,949	10,046,555	11,194,264	9,107,882
採択件数		57 件	31 件	109 件	52 件	61 件	決算額（千円）	11,774,614	11,585,030	9,786,731	10,867,333	8,871,125
シンポジウム等の開催件数		11 件	4 件	4 件	1 件	0 件	経常費用（千円）	11,773,498	11,809,121	9,903,639	11,039,734	9,011,130
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	68 件	経常利益（千円）	0	0	-3	0	0
PS/PO 会議実施回数		17 件	2 件	3 件	6 件	5 件	行政サービス実施コスト（千円）※令和元年度は、行政コスト（千円）	11,773,498	11,585,334	9,736,395	10,869,679	9,031,605
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	21 件	従事人員数	11 人	19 人	18 人	16 人	15 人
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	30 件						

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			
				主な業務実績等	自己評価	主務大臣による評価	
						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>令和元年9月～12月にかけて13拠点のサイトビジットを行い、平成30年度のサイトビジットでの指摘事項への対応や、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。令和元年度のサイトビジットでは、拠点(外)シーズ支援や支援人材のキャリアパス、人材育成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、橋渡し研究戦略的推進プログラムの中間評価(令和元年3月～令和元年8月)で提出された報告書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、医療技術実用化総合促進事業の各プログラムの実施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事前訪問して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、拠点外シーズの発掘・育成の負担や臨床試験の品質管理、特にリスクに基づく取組(risk-based approach)の整備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取組を令和2年度の事業内容に反映した。</li> <li>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年度公募から継続して、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月～平成30年3月、平成30年6月～8月に合同公募を実施、中間・事後評価についても同一の評価委員会で実施している。</li> <li>「橋渡し研究戦略的推進プログラム」においては、シーズB、シーズC研究費の事前評価に際し、まず、橋渡し研究支援拠点が拠点への登録を希望するシーズの募集を行い、書面・ヒアリング等による選定を行った上でAMEDに研究費支援を希望するシーズとして応募し、AMEDでの書面審</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継続して実施する等、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進めた。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>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>査・ヒアリングによる選考を行う二段階選考体制を実施している。そのため、質の高い課題のみ、AMED が効率よく評価できる体制が整っており、採択最低点は 6.5 点、採択最高点は 7.3 点、(いずれも令和 2 年度公募、シーズ B・C 合算) と極めて高くなっている。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>平成 30 年度の革新的医療技術創出拠点プロジェクトの拠点調査会議において、拠点よりシーズ A とシーズ B、シーズ B とシーズ C の間で切れてしまう現状が指摘されたことを受け、橋渡し研究戦略的推進プログラムの令和元年度公募においては、間をつなぐための少額・単年度の研究費をシーズ B、シーズ C の中に試行的に設けた。その結果、単年度の応募が 89 件と応募全体の 72% を占めたことから、令和 2 年度公募においてはさらに、preB(単年度で非臨床パッケージを策定する課題)、preC(単年度で医師主導治験の準備を行う課題) をシーズ B、シーズ C とは別の公募枠として新設した。preB71 件、シーズ B19 件、preC14 件、シーズ C22 件の応募があり、preB12 件、シーズ B6 件、preC5 件、シーズ C6 件を採択した。</li> <li>革新的医療技術創出拠点が支援するシーズについては、1,427 件(令和元年拠点調査会議における集計) に達した。これらは、成果活用支援業務で作成された革新拠点共通の入力様式を用いたデータベースで管理することによって、シーズ情報(シーズの概要、資金源、ビジネス化・実用化等)を収集・管理し、ポートフォリオ戦略の立案に寄与している。</li> <li>AMED 公募要領ひな形に革新的医療技術創出拠点による研究支援についての文言並びに各拠点への問い合わせが掲載されたホームページのリンクを追加し、拠点の利活用を推進している。令和元年度は、革新的医療技術創出拠点の拠点長や関係省庁が出席する全体会議において、AMED 産学連携部、戦略推進部再生医療研究課、知的財産部から公募や事業に関する取り組みを紹介していただき、事業間連携を推進した。また、「再生医療実現拠点ネットワークプログラム(技術開発個別課題)」の公募では、再生医療研究課と連携して拠点を含む研究支援組織の活用を明記していただくとともに、拠点に公募情報を周知することにより、拠点の利活用促進を図った。さらに、「産学連携ワンストップサービス」の実施について産学連携部から紹介いただき、拠点に周知することにより、他事業の取組を拠点に共有し、拠点の支援シーズが他事業に応募する機会を積極的に提供した。</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) アカデミア発医療技術の実用化</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、橋渡し研究支援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>	
--	--	--	--	--	--

				<ul style="list-style-type: none"> <li>・小径金マーカ</li> <li>・SCOLIOMAP 脊柱側弯モニタ</li> <li>・バイポーラ RFA システム</li> <li>・トシリズマブ</li> <li>・シクロスポリン</li> <li>・ボナーク®</li> <li>・AMG0001</li> </ul> <p>医師主導治験の実施</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・M201-A 塩酸塩による革新的な心房細動治療薬の開発</li> <li>・心臓アセチルコリン感受性カリウムチャネル選択的阻害薬による遺伝性徐脈性難病 (KACH チャネロパチー) に対する新規治療法の創出を目指す開発研究</li> <li>・IL-12 発現型がん治療用ウイルスを用いた悪性黒色腫に対する革新的ウイルス免疫療法開発</li> <li>・網膜色素変性症に対する経強膜ウノプロストン徐放製剤を用いた安全性及び有効性評価のための I / IIa 相試験</li> <li>・血管免疫芽球性 T 細胞リンパ腫 (AITL) 及びその他の濾胞性ヘルパーT細胞リンパ腫に対するダサチニブの多施設第 II 相医師主導治験</li> <li>・デュシェンヌ型筋ジストロフィーに対する新規配列連結型核酸医薬品の医師主導治験</li> <li>・遺伝子治療製品「Ad-SGE-REIC」の再発悪性神経膠腫対象第 I/IIa 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、医療系ベンチャー育成支援プログラム)、革新的医療シーズ実用化研究事業、中央 IRB 促進事業、ARO 機能評価事業</p>		
<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</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に加え、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</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。  &lt;モニタリング指標&gt; ・上記の評価軸に</p>	<p>■人材確保・育成を含めた拠点機能の強化・特色化 【橋渡し研究戦略的推進プログラム、臨床研究中核病院関連事業(※)、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ついては、平成 29 年度より臨床研究中核病院が主催して実施してきた。令和元年度は事業が厚生労働省に移管されたため、AMED のホームページで厚生労働省の研修のページを紹介、周知した。また、厚生労働省の担当課と連携し、AMED 革新的医療技術創出拠点プロジェクト拠点調査会議の後に、厚生労働省の研修事業のサイトビジットを実施し、必要に応じて互いにオブザーバーとして出席することにより、事業の円滑な移行を図った。</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</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</li> </ul>	

	<p>し研究支援拠点のネットワークを更に強化し、拠点間の情報共有等を推進するとともに、拠点以外の研究機関等からのシーズの創出を支援するため、オープンアクセス化に向けた取組を推進する。</p>	<p>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>係る取組状況等</p>	<p>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。</p> <ul style="list-style-type: none"> <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、Research Studio を継続して実施した。令和元年度には各プログラムの分担拠点を増やし、橋渡し研究支援拠点 10 拠点全てがいずれかのプログラムに参画して実施している。</li> <li>平成 30 年度から、橋渡し研究戦略的推進プログラム・拠点間ネットワークにおける実務者連絡会として、シーズ発掘及び PM 育成に関するテーマや、PM 育成や産学連携に関するテーマについて拠点担当者による会合や、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を開催し、体制整備や人材育成に係る情報共有や検討を行った。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>国際共同研究実施推進プログラムにおいては、全ての中核病院で国際展開に係る取組を推進するとともに、各国規制の情報収集と中核病院への情報展開、利用できる研究費等の情報収集、海外に向けた積極的発信などの業務を担うため、令和元年度に新たに拠点（大阪大学、国立がん研究センター）を選定した。臨床研究中核病院連絡会議を開催し、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 年度から学生受け入れを開始した。令和元年度は合計 21 名が第 I 期生、18 名が第 II 期生として大学院に在籍中で、研鑽に励んでいる。</li> </ul> <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</li> </ul>	<p>ていることは評価できる。</p> <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、それらの職種の評価の基盤を作る必要がある。</li> <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>性の確保をはかるため、平成 30 年度より「Real World Evidence 創出のための取組」として、病院情報システム内の医療情報データの品質確保メカニズムを中核病院内に構築し、中核病院間でのデータ相互利用を可能にする標準化を図るプロジェクトを実施している。病院情報システム内の医療情報データの質の担保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。令和元年度には事業の目標となる Vision, Mission を策定し、臨床研究中核病院 12 病院が一堂に会し事業の進捗を管理するとともに各病院が有する医療情報システムの状況の把握、品質管理、標準化手法の検討、ユースケースの検討を行い、それを具体的に進めるための各病院の中の院内体制の整備を行ってきた。また、人材育成の一環として、2 年度に渡り、8 病院から 9 名が PMDA に向向し、Real World Data 利活用の具体的な一例として MID-NET の業務に携わることで品質管理、標準化の実際について、on the job training として学習することを行っている。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・医療実用化を目指した広範なシーズの育成と、医歯薬系分野以外の先端技術・知識を利活用して医療イノベーションを推進することを目的とし、令和元年度に「異分野融合型研究開発推進支援事業」の実施拠点を公募した。4 拠点を採択して、拠点内外の異分野融合シーズの開発支援を開始した。</li> <li>・橋渡し研究戦略的推進プログラムの成果活用支援業務において、拠点が保有するシーズ情報を収集・管理するデータベースを整備するとともに、当該データベースを用いてポートフォリオ戦略を策定し、拠点のシーズ導出活動を支援した。</li> <li>・これらの取組を通じ、拠点外シーズ数は 467 件（平成 30 年度 406 件）と増加した。※橋渡し研究加速ネットワークプログラム、橋渡し研究戦略的推進プログラムの補助事業計画書に記載された件数の集計</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、医療系ベンチャー育成支援プログラム）、革新的医療シーズ実用化研究事業、中央 IRB 促進事業、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</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</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</p>	<p>&lt;評価軸&gt; ・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</p>	<p>■臨床研究中核病院等の整備と研究開発の推進 【橋渡し研究戦略的推進プログラム、臨床研究中核病院関連事業(※)】 ・臨床研究中核病院に対し、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。 ・革新的医療シーズ実用化研究事業の「若手研究者によるプロトコール作成研究」では、研究開発費を 200～300 万円程度としている。令和元年度の公募では、研究代表者が所属する機関以外の中核病院に支援を求める場合</p>	<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】 ・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</p>	

<p>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>に、橋渡し研究支援拠点において基礎研究段階から実用化まで一貫した支援を行う人材・体制を整備して、育成したシーズを強力かつ切れ目なく効率的に実用化につなげる体制の構築を推進する。なお、ARO 機能の更なる活用のため、各医療機関が有する ARO 機能について客観的な評価も行う。</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を進める。</p>	<p>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し、育成したシーズを協力的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。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</p>	<p>行う施設としてこれら拠点の整備を進めたか。</p> <p>・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。</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>には研究開発費の上限を 400 万円とする工夫により、拠点内 4 課題、拠点外 2 課題を採択して、拠点外シーズ支援の促進を図った。</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、医療系ベンチャー育成支援プログラム）、革新的医療シーズ実用化研究事業、中央 IRB 促進事業、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、平成 30 年度に引き続き、シーズの発掘・実用化を前臨床段階から支援・進捗管理できるプロジェクトマネージャー（PM）の育成に関する課題について議論する会議を開催した。PM 育成における課題の洗い出しと対応策を議論し、橋渡し拠点が連携して前臨床段階を担当できる初級 PM を育成し、キャリアパスの仕組みを構築することが必要としてプログラムを企画立案し、令和 2 年度の PM 育成プログラム実施に向けて検討している。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。</li> <li>・医療系ベンチャー育成支援プログラムでは、ジャパン・ヘルスケアベンチャー・サミット（JHVS）2019 にて、全ての臨床研究中核病院（12 病院）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（令和元年 10 月）。加えて、ポスターセッションや JHVS ステージイベント「臨床研究中核病院におけるベンチャー支援」においても臨床研究中核病院の役割について紹介した。サミットへの出展や定期的な連絡会を通じて、各病院の優れた取組を窓口担当者間で情報共有し、病院間の連携を強化し、中核病院における医療系ベンチャー支援のあり方について協議を進めた。</li> </ul> <p>■ARO 機能の客観的な評価</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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たリストを作成し、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。令和元年度も継続して、革新的医療技術創出拠点を含む全国の ARO の研究開発支援機能についての調査を実施してその機能を類型化し、ARO の支援機能を客観的に評価する指標を検討、結果をまとめるとともに、JRCT を活用した若手研究者や研究支援者の貢献度評価手法の検討を</li> </ul>	<p>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。</p> <p>&lt;今後の課題&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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。</li> </ul>	
--	--	---	---	---	---	--

		る体制整備に対する支援を行う。		<p>行った。</p> <p>■中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会の推進</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>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、令和元年 3 月に厚生労働省のホームページで公表された。令和元年度には、認定臨床研究審査委員会 (CRB) での審査の効率化や均てん化を目指し、CRB、研究機関、研究者各々の立場の課題を明らかにし、検討を行った。その結果については相互に情報共有を行った。</li> <li>介入研究における審査の効率化、質の統一化を図るため、中央倫理審査委員会等の体制整備を図ってきたが、非介入研究においても倫理審査のガイドライン等の策定を目的として公募を行い 1 機関を選定 (平成 30 年 8 月)。非介入研究における一括審査ガイドライン等の作成に向け、国内外の現状及び問題点等について調査し、ガイドラインの内容を検討した。また、医学研究等に係る倫理指針の見直しに関する合同会議において、臨床研究法対象外の臨床研究についても一研究一審査とする方向で取り纏められ、国内の動向を踏まえながら非介入研究の一括審査促進に向け検討している。</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、医療系ベンチャー育成支援プログラム)、革新的医療シーズ実用化研究事業、中央 IRB 促進事業、ARO 機能評価事業</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、	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>&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</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>医師主導治験届出数 (目標 2020年: 40件) 令和元年度 21件 (AMED 全体では 44件)</li> <li>First in Human 試験 (企業治験含む) (目標 2020年: 40件) 令和元年度 30件 (AMED 全体では 36件)</li> </ul>		

<p>・医師主導治験届 出数 年間40 件</p> <p>・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。</p>	<p>・医師主導治験届 出数 年間40 件</p> <p>・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。</p>		<p>出数 年間 40 件</p> <p>・First in Human (FIH) 試験 (企業治験を含む。) 年間 40 件</p> <p>&lt;モニタリング指標&gt;</p> <p>・応募件数及び採択件数</p> <p>・事業に参画している研究者延べ人数</p> <p>・PMDA への薬事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>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</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> <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たか。</p> <p>&lt;評価指標&gt;</p> <p>・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</p> <p>&lt;モニタリング指標&gt;</p> <p>・研究不正防止に係る外部向け説明</p>	<p>&lt;平成 30 年度の業務実績、第 1 期中長期目標期間終了時に見込まれる業務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>・若手研究者の育成をさらに推進するべきである。</p> <p>【対応状況】</p> <p>・生物統計家人材育成支援事業の 2 育成拠点において平成 30 年度より大学院修士課程の学生受け入れを開始した。現在、第 I 期生 21 名、第 II 期生 18 名が在籍し、研鑽に務めている。</p> <p>・革新的医療シーズ実用化研究事業の「若手研究者によるプロトコール作成研究」では、研究開発費を 200～300 万円程度としている。令和元年度の公募では、研究代表者が所属する機関以外の中核病院に支援を求める場合には研究開発費の上限を 400 万円とする工夫により、拠点内 4 課題、拠点外 2 課題を採択して、拠点外シーズ支援の促進を図った。</p> <p>■指摘事項</p> <p>・臨床の現場や研究機関における課題を十分に把握し、研究開発マネジメントに反映させることに一層取り組むことが求められる。</p> <p>【対応状況】</p> <p>・令和元年 9～12 月にかけて、革新的医療技術創出拠点プロジェクト令和</p>		

		<p>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>会、展示会等開催回数及び参加者数</p>	<p>元年度拠点調査を 13 拠点に対して実施し、研究開発シーズの進捗及び各拠点における課題を把握した。本年度は、橋渡し研究支援拠点（文部科学省）の中間評価が行われたため、拠点の負担を考慮して、評価委員会、PD、PS、PO と調整の上、中間評価の報告票と重複する項目については転用可として、効率化に努めた。当日は、質疑応答、総合討論を含め、1 拠点あたり 1 時間以上の意見交換・指導助言が行われた。拠点（外）シーズ支援や支援人材のキャリアパス、人材育成についての議論が多かったことを踏まえ、令和 2 年度事業において、橋渡し事業における PM 育成プログラムの開始、ARO 機能推進事業や中央 IRB 促進事業における公募の設計等に反映することができた。</p> <p>■指摘事項</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>AMS による分析結果等を更なる研究開発マネジメントの向上に活用していくことが望まれる。</li> </ul> <p>【対応状況】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>橋渡し研究戦略的推進プログラムの採択課題プロセスにおいて他事業で実施している課題との重複確認に AMS を活用した。臨床研究課の所管事業である臨床研究・治験推進研究事業の公募が先行していたため、当該事業担当がまとめた「重複課題に対する対応方針」に沿って対応した。</li> </ul> <p>■指摘事項</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>データサイエンティスト等の研究を支援する人材の育成にも取り組むべきである。</li> </ul> <p>【対応状況】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>平成 30 年度より 2 育成拠点において大学院修士課程の学生受け入れを開始した。現在、第 I 期生 21 名、第 II 期生 18 名が在籍し、研鑽に務めている。</li> </ul> <p>■指摘事項</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>ネットワークという資産の一層の活用という観点から、革新的医療技術創出拠点事業における拠点間ネットワークの強化による拠点外シーズの実用化支援や、クライオ電顕等の大型機器共同利用等、研究開発基盤の更なる整備を引き続き推進することが求められる。</li> </ul> <p>【対応状況】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>「医療系ベンチャー育成支援プログラム」では、令和元年 10 月に中核病院 12 病院が連携してジャパン・ヘルスケアベンチャー・サミット (JHVS) 2019 でブース出展した。サミットにおけるベンチャー支援メ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の紹介、定期的な連絡会を通じて、各拠点の優れた取組の情報共有を図った。</li> <li>革新的医療シーズ実用化研究事業の「若手研究者によるプロトコル作成研究」では、研究開発費を 200～300 万円程度としている。令和元年度</li> </ul>		
--	--	--	--	-------------------------	---	--	--

				<p>の公募では、研究代表者が所属する機関以外の中核病院に支援を求める場合には研究開発費の上限を 400 万円とする工夫により、拠点内 4 課題、拠点外 2 課題を採択して、拠点外シーズ支援の促進を図った。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・また、医療実用化を目指した広範なシーズの育成と、医歯薬系分野以外の先端技術・知識を利活用して医療イノベーションを推進することを目的とし、「異分野融合型研究開発推進支援事業」の実施拠点を公募。4 拠点を採択して、拠点外を含む異分野融合シーズの開発支援を開始している。</li> <li>・橋渡し研究戦略的推進プログラム・拠点間ネットワークの実務者 WG において PM 育成における課題の洗い出しと対応策を議論し、橋渡し拠点が連携して前臨床段階を担当できる初級プロジェクトマネージャー (PM) を育成し、キャリアパスの仕組みを構築する PM 育成プログラムを企画立案し、令和 2 年度より開始する予定。</li> <li>・さらに、令和 2 年度橋渡し拠点事業のシーズ A 支援費については、拠点外シーズの応募数と採択数が多い拠点には追加支援を行うこととして、拠点が全国から発掘したシーズの支援を強化する取組を開始する予定。</li> </ul> <p>&lt;平成 30 年度の業務実績に係る主務大臣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加え、拠点毎の特色を活かした運営に関する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>・本年度は、橋渡し研究支援拠点（文部科学省）の中間評価が行われたため、拠点の負担を考慮して、評価委員会、PD、PS、PO と調整の上、中間評価の報告票と重複する項目については転用可として、効率化に努めた。当日は、質疑応答、総合討論を含め、1 拠点あたり 1 時間以上の意見交換・指導助言が行われた。今回のサイトビジット終了後には前年度まで AMED 事業として実施し、本年度より厚労省で実施している 2 事業（先進医療等実用化促進プログラム、臨床研究・治験従事者等に対する研修プログラム）についても厚労省によるサイトビジットが行われ、AMED で検討・構築したプログラムが臨床研究や治験を行う現場で活用され始めていることを確認することができた。</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><b>【対応状況】</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・生物統計家人材育成事業において令和2年度には第1期生が修了し、生物統計家の実務家として医療機関・アカデミアでの活動を開始する。育成拠点を介した修了生同士のネットワーク強化が期待される。</li> <li>・医薬品・医療機器等の研究開発に資する研究者人材を育成する3つのプログラム（TSMTP, Japan Biodesign, Research Studio）について、令和元年度には各プログラムの分担拠点を増やし、橋渡し10拠点全てがいずれかのプログラムに参画して実施している。Japan Biodesginについては、長期的なスパンで実施、持続することを目指し、令和元年12月に（一社）日本バイオデザイン学会として学会設立した。</li> <li>・「医療系ベンチャー育成支援プログラム」では、令和元年10月に中核病院12病院が連携してジャパン・ヘルスケアベンチャー・サミット（JHVS）2019でブース出展した。サミットへの出展や定期的な連絡会を通じて、各病院の優れた取組を窓口担当者間で情報共有し、病院間の連携を強化し、中核病院における医療系ベンチャー支援のあり方について協議を進めた。</li> </ul> <p><b>■指摘事項</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・橋渡し研究支援拠点における支援課題の企業導出を促進し、産学連携の取組を強化する必要がある。</li> </ul> <p><b>【対応状況】</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・令和元年度第2回調整費「特許出願シーズの実用化加速支援」において、令和元年11月末までに特許出願したシーズA37件を対象に、出願した特許を補強し、早期段階からの企業連携及びライセンスアウトを促進する取組を実施した。</li> <li>・成果活用支援事業では、個別シーズの企業マッチング支援、起業意思のある研究者への支援、国際展開に向けた海外情報の提供を行った。また、拠点と研究者に対し、企業に提供する資料作成に関するセミナーを開催して、企業交渉におけるシーズ情報のブラッシュアップを図った。</li> </ul> <p><b>■指摘事項</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・平成31年度公募において、シーズA, B, Cの間をつなぐためにシーズB、シーズCの中に試行的に設けた少額・単年度の研究費はシーズのステップアップ促進に資する重要なものであるため、令和2年度公募においては正式に立ち上げることを求める。</li> </ul> <p><b>【対応状況】</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・橋渡し研究戦略的推進プログラムの令和2年度シーズ公募において、シーズBの中にpreB、シーズCの中にpreCを設定して公募を実施した。preB71件、シーズB19件、preC14件、シーズC22件の応募があり、preB11件、シーズB6件、preC5件、シーズC5件を採択した。</li> </ul>		
--	--	--	--	--	---	--	--

				<p><b>■指摘事項</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>革新的医療技術創出拠点が抱えているシーズ情報を成果活用支援事業で設けているデータベースに集約していることは大変有益だが、AMED の他事業でも利活用が図れるような体制を検討していくべき。また、AMED ぷらっと等との接続性も検討していくべきである。</li> </ul> <p><b>【対応状況】</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>令和元年度の成果活用支援において、各拠点の研究シーズ情報収集のためのデータベースを新規に構築し、令和元年度中に運用を開始する予定。知的財産部との情報交換を行い、AMED ぷらっと等との将来的な接続性についても検討している。</li> </ul> <p><b>■指摘事項</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>実務者連絡会で得られたプロジェクトマネージャーの人材育成方策について、今後具体的に進めていけないか、方策を検討すべきである。</li> </ul> <p><b>【対応状況】</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>橋渡し研究戦略的推進プログラム・拠点間ネットワークの実務者 WG において PM 育成における課題の洗い出しと対応策を議論し、橋渡し拠点が連携して前臨床段階を担当できる初級プロジェクトマネージャー (PM) を育成し、キャリアパスの仕組みを構築する PM 育成プログラムを企画立案し、令和2年度より開始する予定。</li> <li>ARO 機能評価事業では、革新拠点を含む全国の ARO の研究開発支援機能についての調査を実施してその機能を類型化し、ARO の支援機能を客観的に評価する指標を検討すると共に、jRCT を活用した若手研究者や研究支援者の貢献度評価手法の検討を行っている。</li> </ul> <p><b>■指摘事項</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>引き続き、AMED 他事業との連携を図り、革新的医療技術創出拠点が事業間を横断的に俯瞰できるシステムとして機能するよう、AMED 内での必要な協力体制構築を期待する。</li> </ul> <p><b>【対応状況】</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>革新的医療技術創出拠点の拠点長等、関係省庁が出席する全体会議を開催し、AMED 産連部、戦略推進部再生課、知財部から取組や公募を紹介いただき、事業間連携を推進した。</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)」の公募では、再生医療研究課と連携して拠点を含む研究支援組織の活用を明記していただくとともに、拠点に公募情報を周知することにより、拠点の利活用促進を図った。</li> <li>「産学連携ワンストップサービス」の実施について産学連携部から紹介いただき、拠点に周知することにより、他事業の取組を拠点に共有し、拠点の支援シーズが他事業に応募する機会を積極的に提供した。</li> </ul>	
--	--	--	--	---	--

				<p>■指摘事項</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>橋渡し研究戦略的推進プログラムの成果活用支援事業については、業者の複数年度契約等により継続的な支援を行う体制にすることで、より有効に活用されることを求める。</li> </ul> <p>【対応状況】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>前年度までの成果及び今年度の実施状況、次年度に実施すべき内容を踏まえて複数年度契約等による継続的な支援を行う体制をとる必要があるかどうか検討したが、次年度の実施内容を考慮した結果、昨年度は拠点の研究者を支援する内容であった一方、今年度は研究者ではなく拠点そのものの支援を行うこととなり、支援内容が異なることから、単年度での調達を行うことになった。</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 2019（令和元年 6 月 20 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 2019（令和元年 6 月 20 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 0040、文部科学省 0244、厚生労働省 899-4、経済産業省 0032）

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	平成 27 年度	平成 28 年度	平成 29 年度	平成 30 年度	令和元年度		平成 27 年度	平成 28 年度	平成 29 年度	平成 30 年度	令和元年度
応募件数		62 件	231 件	228 件	265 件	274 件	予算額（千円）	16,020,209	15,766,013	15,108,342	15,834,232	14,833,702
採択件数		39 件	42 件	79 件	65 件	37 件	決算額（千円）	15,960,916	15,642,964	15,003,629	15,629,570	14,722,605
シンポジウム等の開催件数		2 件	7 件	21 件	6 件	5 件	経常費用（千円）	19,136,725	18,939,327	17,636,020	15,919,437	14,999,267
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	510 件	経常利益（千円）	0	555 の内数	8	0	0
PS/PO 会議実施回数		13 回	13 回	10 回	13 回	17 件	行政サービス実施コスト（千円）※令和元年度は、行政コスト（千円）	19,136,725	18,939,327	14,907,173	15,542,233	15,017,540
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	47 件	従事人員数	20 人	25 人	21 人	23 人	22 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（評価の視点）、指標等	法人の主な実績等・自己評価			
				主な業務実績等	自己評価	主務大臣による評価	
						評価	
<p>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。</p> <p>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。</p>	<p>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。</p> <p>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。</p>	<p>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</p>	<p>&lt;評価軸&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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。</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」(iPS細胞研究中核拠点、京都大学CiRA)にて、令和元年3月にHLA型日本人第4位・末梢血由来の臨床用HLAホモ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」(iPS細胞研究中核拠点)において、京都大学CiRAの金子新准教授らは、ゲノム編集技術を用いて、HLA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。また令和元年7月よりゲノム編集したiPS細胞の研究株を配布している。</li> <li>・京都大学CiRAでは、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継続して行った、</li> <li>・AMEDでは、京都大学CiRA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、横浜市立大学 谷口英樹教授、武部貴則教授らは、iPS細胞から肝細胞や腸細部の前段階の細胞である内胚葉前駆細胞を効率良くつくることに成功した。</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」(技術開発個別課題)では、令和元年度採択分として、平成30年度に引き続き、「非臨床POC取得(動物試験における有効性の検証、ヒト有効性予測)」「トランスレーショナル・リサーチ)および「臨床研究・治験により明らかとなった課題を基礎に立ち戻って解明する研究開発(リバース・トランスレーショナル・リサーチ)」の公募を行うとともに、新たに、非臨床POC取得を行う前段階において必要となるシーズの確立を目的とした「シーズ開発」の公募</li> </ul>	<p>&lt;評価と根拠&gt;</p> <p>評価：A</p> <p>PD、PS、POによる助言や交流会等による研究者同士のネットワークの形成、課題担当者の進捗管理・アドバイスによる橋渡し等、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、①令和元年度中に5件(内1件は臨床研究の治験への移行)が臨床研究段階又は治験段階に移行とともにiPS細胞ストックの安定供給の見通しを得ており、臨床研究・治験の実施が進んだ。また、②「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、若手研究者による新たな研究シーズの創出が始まった。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」の継続した採択時評価や進捗管理への活用し、CRO協会との共催セミナー等の新たなプロジェクト運営方法の構築を継続した。さらに、③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継続させ、公募においてMRCとの日英国際共同研究枠も設けた。以上より、「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>再生医療の基礎研究・前臨床試験については、短期、中長期で臨床研究への到達を目指す再生医療の基礎研究・前臨床研究を推進するとともに、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>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。</p> <p>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>を行った。令和2年度採択分も引き続き、トランスレーショナル・リサーチとリバース・トランスレーショナル・リサーチの公募を行っているが、特にトランスレーショナル・リサーチについては、小動物等を用いた治療コンセプトの確認段階（TR1）、臨床試験と同製法で製造した細胞製剤を動物に投与することによる治療コンセプトの検証段階（TR2）に分けて公募している。本事業については、公募情報を革新的医療技術創出拠点へ情報共有する等、両事業の連携を図った。</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、令和元年度採択分に引き続き、令和2年度採択分も「若手研究者枠」を設けた。また、事業交流会とシンポジウムを実施、平成30年度審査の国際レビューアを招聘し、国際レビューアが講演をするとともに、「幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム」の研究者と国際レビューアとの意見交換会を行った。これまでに、東京医科歯科大学 武部教授らの“内胚葉オルガノイドの線維化誘導とメカノスクリーン体系の創生”、“筑波大学 家田教授らのダイレクトリプログラミングによる慢性心不全に地する革新的心臓再生”等の若手研究者の成果が、国際的にも評価の高い雑誌に新たな再生医療シーズとして発表された。</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」の再生医療の実現化ハイウェイや疾患・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、再生医療の実現化ハイウェイにおける規制支援を目的とした課題により各課題・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。 <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、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>慶應義塾大学の岡野教授らは、ヒト iPS 細胞由来神経幹/前駆細胞を移植したモデルマウスの未分化細胞を、臨床応用可能な陽電子放出断層撮影で画像化することにより、造腫瘍性変化を生体内で捉えることに成功した。</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 細胞等の多能性幹細胞由来移植細胞の造腫瘍性試験について、官民共同・多施設による研究体制を構築し、造腫瘍性試験の多施設での検証試験を実施し、その結果をまとめた投稿論文が国際雑誌に採択された。さらに、2019年6月に開催された HESI、ISCT、ISCBI、GaiT、CIRM の共催による PSC Manufacturing Expert Panel（ロサンゼルス、米国）において、当該結果について議論した。</li> </ul> </li> </ul> </li> </ul> </li></ul>	<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>臨床用 HLA ホモ iPS 細胞ストックは日本人の約 40%をカバーするところまで到達し、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 細胞に向けた研究株の提供を開始したことは評価できる。</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>個別の疾患の臨床研究・治験を目指した課題等において、製品化に向けた分化誘導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たことは高く評価できる。</li> <li>再生医療臨床研究促進基盤整備事業において、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>■再生医療研究基盤整備のための取組</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、令和元年度には新たに5件の支援を行い、合計66件の臨床研究実施・準備支援が行われた。</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>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</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、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製し、角膜上皮幹細胞疲弊症の患者1名に移植した。当該臨床研究では、京都大学iPS研究所より提供された他人のiPS細胞を用い、独自に開発した方法で角膜上皮細胞を誘導し、更に培養してシート状にした角膜上皮組織の安全性（主要）及び効果（副次）を検討する計画である。本治療方法では、既存治療である角膜移植における問題点、特にドナー不足や拒絶反応等の課題を克服できることから、革新的な治療方法として、角膜疾患のため失明状態にある多くの患者の視力回復に貢献することが期待される。</li> <li>➢ 「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」においても支援している大阪大学大学院医学系研究科の澤芳樹教授らは、「再生医療実用化研究事業」において、iPS細胞から作製した心筋細胞シートを用いた、虚血性心筋症対象の医師主導治験を開始し、患者1名に移植した。当該治療法は、有効な治療法が存在しない重症心不全に対して新しい治療となる可能性がある。</li> <li>➢ 「再生医療実用化研究事業」において、佐賀大学医学部の中山功一教授らの患者の皮膚組織の細胞よりバイオ3Dプリンタで細胞製人工血管を作製する臨床研究を支援している。当該臨床研究について再生医療等提供計画を令和元年11月7日に厚生労働大臣に提出され、臨床研究が開始される運びとなった。当該細胞製人工血管は、従来の人工材料製の人工血管に比較して、感染や血栓が生じにくいことや、バスキュラーアクセス開存性向上等が期待される。</li> <li>➢ 「日本CRO協会・AMED共催セミナー『花開け！再生医療のシーズ第二弾』（令和元年8月）を開催し、アカデミア発のシーズを実用化に結びつけるため、アカデミア、CRO及び製薬企業間でディスカッションを行った。また、令和元年度より、公募を開始した再生医療実用化研究事業の産学連携課題についてのアカデミアの研究者を対象とした相談会（令和元年8月）や出張相談会（高知大学）（令和元年11月）を開催した。</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>	<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>・レギュレーション、被験者選定、インフォームド・コンセントなど安全性、倫理面の支援が臨床研究、治験の推進に資することが期待できる。</li> <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に問えていることは評価できる。</li> </ul>	

		<p>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・倫理的な課題等を議論する有識者からなる検討委員会を設置し、平成 30 年度には、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。令和元年度には、合計 4 回委員会を開催し、産業利用目的でヒト細胞原料を供給する際の課題等について議論し、モデル事業で蓄積された知見や検討委員会での議論を踏まえ、ヒト細胞原料の採取や仲介に携わることを目指す医療機関、学術研究機関及び企業等に広く活用されるよう、「ヒト（同種）細胞原料供給に係るガイダンス（初版）」を取り纏めた。取り纏めたガイダンスについては、経済産業省から公表された。ガイダンス（初版）について情報共有を図るとともに、ヒト細胞原料の安定供給に向けた各種施策や現状・課題・再生医療に係る今後の期待や、引き続き検討が必要な課題等について議論するワークショップを開催した（令和 2 年 2 月 12 日、機械振興会館）。</li> <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。ベンチャー企業を含む民間企業を対象として、臨床開発前段階シーズの迅速な臨床研究・治験への進展に資する課題を平成 30 年度は 6 件、令和元年度は 2 件を採択した。令和元年度には、ベンチャー企業を含む民間企業を対象として、再生医療周辺要素技術の実用化に向けた開発 3 件を採択した。</li> </ul>		
<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、バンクの機能充実に貢献するとともに、</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</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</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、以下の研究を支援した。</li> <li>・京都大学 戸口田淳也 教授らは、遺伝性骨疾患の 1 つである骨形成不全症患者由来 iPS 細胞を用いて、結節形成能の低下及び I 型コラーゲンの分布異常という病態を再現した。また、有効性が示唆されている mTOR 阻害剤を用いた実験を行ったところ、病態が部分的に改善されることを確認した。</li> <li>・東北大学 青木正志教授らは、筋萎縮性側索硬化症（ALS）患者より樹立</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、治療法につながる多くの新たな知見が継続して見つけられる体制が構築されていることは評価できる。</li> </ul>	

	<p>多くの研究者、企業等が創薬等研究を実施できる基盤を構築し、疾患の病因や病態解明を行う研究、創薬を視野においた治療法の開発を目指す研究を推進する。</p>	<p>細胞を樹立する研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ほかり、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>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>した iPS 細胞から運動ニューロンを作製し、マイクロ流体デバイスを用いその運動ニューロンの軸索の形態が異常となることを発見した。この研究により ALS の早期治療標的となり得る新たな病態が見出された。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>熊本大学 西中村隆一教授らは、腎臓のろ過膜を構成するネフリンに変異をもつ先天性ネフローゼ症候群の患者の皮膚から iPS 細胞を樹立し、初期病態を再現することに成功した。この病態は、ネフリンの遺伝子変異を修復することによって正常化したことから、この変異が病気を起こす原因であり、それを元に戻すと治療できる可能性を示した。</li> </ul> <p>「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、令和元年度は 177 人の健常人由来の 870 株および 853 患者由来の 411 疾患、3423 株の疾患特異的 iPS 細胞の寄託を受け、82 人の健常人由来 93 株および 262 患者由来の 173 疾患、468 株の疾患特異的 iPS 細胞のを提供した(令和元年度 12 月現在)。</p>		
<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</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</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>■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 や CiPA のメンバーとともに iPS 心筋の best practice に関する white paper をまとめている。また、in silico での best practice に関する white paper については、令和元年 9 月に論文として受理された。iPS 心筋の議論のなかで、iPS 細胞の未成熟な特性に関する問題が解決していないことから、本研究班においては、配向性の向上や、筋小胞機能向上作用のある薬物の添加による成熟の促進を検討した。</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について、white paper の取りまとめていること、in silico 手法については国際共著論文として投稿し、採択されたことや、さらに、</li> </ul>	

	標準化への対応を促進する。	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>&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>	<ul style="list-style-type: none"> <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>	議論において新たに提起された問題についても、解決を図っていることは評価できる。	
さらに、幹細胞による創薬支援の実現化を支える産業基盤を構築する。	さらに、創薬プロセスにおける安全性評価に活用可能な、幹細胞を用いた創薬スクリーニングシステムの開発等により、創薬支援の実現化に向けた産業基盤の構築を支援する。	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>&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、令和元年度は 177 人の健康人由来の 870 株および 853 患者由来の 411 疾患、3423 株の疾患特異的 iPS 細胞の寄託を受け、82 人の健康人由来 93 株および 262 患者由来の 173 疾患、468 株の疾患特異的 iPS 細胞のを提供した(令和元年度 12 月現在)。</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 細胞等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る。令和元年度は、チップ等のデバイス上で各種臓器細胞(肝臓、小腸、腎臓、血液脳関門(BBB))を立体培養・共培養する技術、培養した細胞を産業化可能なデバイス作製へ応用する技術、及び、構築されたデバイス上での細胞培養手法を検証し基準を設定する技術の開発を進めた。また、令和元年度から、肝臓を対象とし、ヒト iPS 細胞より分化誘導した臓器細胞と、その同一ドナーの臓器細胞の機能の相関性を明らかにする課題を採択した。</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、新たな創薬手法として治療法の実現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持続的な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進めていることは評価出来る。</li> </ul>	
これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、	これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、	—	<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>・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</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： 令和元年度は新規の承認はない。</li> <li>・再生医療等製品の薬事承認数： 令和元年度は、自家培養口腔粘膜上皮(開発名：COMET01、株式会社ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング)が2月に厚労省薬事・食品衛生審議会 生医療等製品・生物由来技術部会において希少疾病用再生医療等製品への指定が了承された。</li> <li>・臨床研究又は治験に移行する対象疾患の拡大：</li> </ul>		
・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(臨床研究又は治験の開始)					
・再生医療等製品の薬事承認数の増加	・再生医療等製品の薬事承認数の増加					
・臨床研究又は治	・臨床研究又は治					

<p>験に移行する対象疾患の拡大35件</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>再生医療関係の周辺機器・装置の実用化</li> <li>iPS細胞技術を活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>験に移行する対象疾患の拡大35件</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>再生医療関係の周辺機器・装置の実用化</li> <li>iPS細胞技術を活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>疾患の拡大 35件</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>再生医療関係の周辺機器・装置の実用化</li> <li>iPS細胞技術を活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>&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>「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。</p> <p>（内訳）</p> <p>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 平成25年度：5件、平成26年度：2件、平成27年度：1件、平成28年度：1件</p> <p>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 平成25年度：4件、平成26年度：6件、平成27年度：3件、平成28年度：6件、平成29年度：3件、平成30年度：11件、令和元年度：5件</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>再生医療関係の周辺機器・装置の実用化の状況： 富士フイルムは、公立大学法人名古屋市立大学の松永 民秀教授が取り組んでいる生体模倣小腸－肝臓チップの開発の一環として開発した腸管上皮細胞への分化誘導技術を用いて、ヒト iPS 細胞由来腸管上皮細胞「F-hiSIEC™（エフ・ハイシーク）」を発売した。同細胞は、ヒト生体に近い機能を有し、薬物の吸収性を高精度に評価でき、医薬品開発の効率化に大きく貢献することが期待される。</li> <li>iPS 細胞技術を活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： 培養プレート底面の加工によるヒト iPS 細胞由来心筋細胞の配向性の向上や、筋小胞機能向上作用のある薬物の添加による成熟の促進を確認した。また、国際化については、ICH（医薬品規制調査国際会議）に議題として提案しており、ドラフト作成のために ICH S7B/E14 のメンバーと議論を進めた。</li> <li>応募件数及び採択件数： 令和元年度 274 件及び 37 件 累積 1,060 件及び 262 件</li> <li>事業に参画している研究者延べ人数： 令和元年度 2,800 人 累積 10,600 人</li> <li>PMDA への薬事戦略相談を行った研究開発課題数： 令和元年度 23 件 累積 156 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： 令和元年度 68 件 累積 237 件</li> </ul> <p>&lt;平成30年度の業務実績、第1期中長期目標期間終了時に見込まれる業</p>		
---	---	--	--	--	--	--

				<p>務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>・若手研究者の育成をさらに推進するべきである。</li> </ul> <p>【対応状況】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・令和2年度「幹細胞・イノベーション創出プログラム」(令和元年12月公募開始)において若手枠(0~5課題)を設定し、39課題の応募を得ることにより、若手育成を推進した。</li> </ul> <p>■指摘事項</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・臨床の現場や研究機関における課題を十分に把握し、研究開発マネジメントに反映させることに一層取り組むことが求められる。</li> </ul> <p>【対応状況】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・研究者に対する課題担当者は日頃よりの電話、メール並びに事務局面談による進捗確認および把握を行い、14回のサイトビジット、27回のヒアリング等を通じたマネジメントもPD、PS、POと共に行っている。また、「幹細胞・再生医療イノベーション創出プログラム」にて若手研究者支援による人材育成、「再生医療の実現化ハイウェイ事業」にて規制・倫理上の問題解決と支援、および再生医療実用化研究事業の支援サポート課題において、研究開発マネジメントを強化した。</li> </ul> <p>■指摘事項</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・AMSによる分析結果等を更なる研究開発マネジメントの向上に活用していくことが望まれる。</li> </ul> <p>【対応状況】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・事前評価等において、重複や過度の集中がないかについてAMSを活用した確認を随時実施している。また、再生医療研究課以外の課における再生医療に関する課題を確認し、研究交流会への参加を促すことで連携を図った。</li> </ul> <p>■指摘事項</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・データサイエンティスト等の研究を支援する人材の育成にも取り組むべきである。</li> </ul> <p>【対応状況】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・「技術開発個別課題」および「再生医療実用化研究事業」の令和2年度一次公募において、臨床研究・治験の実施を目指す課題および実施している課題に対し、提案書内への生物統計家の関与の記載を要件とした。</li> </ul> <p>■指摘事項</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・ライフサイエンスにかかるデータベースに関して、重複なく必要不可欠な項目のフォーマットの統一化・標準化について、国際的なデータ連結を視野に入れた速やかな検討が求められる。</li> </ul>		
--	--	--	--	---	--	--

				<p><b>【対応状況】</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・AMED 支援のもと再生医療学会が構築した NRMD/CR（再生医療等データ登録システム）へ登録が可能なデータを登録するよう公募要領に記載し、各研究者へ周知した。これにより、NRMD/CR への登録手続き件数が増加している。また、NRMD/CR では、英語版 HP を作成し、引き続き国際学会等にて周知活動をしており、海外からのデータ受入れ準備を開始した。</li> </ul> <p>&lt;平成 30 年度の業務実績に係る主務大臣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>・令和元年度に文部科学省が策定した「今後の幹細胞・再生医学研究の在り方について（第 3 版）」に基づいた着実な対応を求める。</li> <li>－ユーザーニーズを踏まえた iPS 細胞中核拠点事業や疾患特異的 iPS 細胞バンク事業の実施</li> <li>－革新的医療技術創出拠点プロジェクト等、他のプロジェクトとの積極的な事業連携の推進</li> <li>－iPS 細胞研究中核拠点と疾患・組織別研究拠点との適切なノウハウ共有の実施</li> <li>－知財部との連携等を念頭とした、適切な知財サポートの実施</li> <li>－若手研究者育成の推進</li> <li>－国民や社会、産業界等への情報発信の更なる推進</li> </ul> <p><b>【対応状況】</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・以下の内容にて指摘事項を達成する見込みである。</li> <li>－疾患・組織別実用化研究拠点 拠点長会議、企業意見交換会等で示されたニーズを踏まえ、CiRA 提供株に関する情報交換を行う予定（新型コロナウイルス対応のため見直し中）であるとともに、疾患特異的 iPS 細胞の利活用を目的とする公募を実施した。</li> <li>－「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」公募要領においては「研究者マッチング・共同研究促進課題」として、iPS 細胞に関する経験の少ない研究者と、樹立や利用のノウハウを有する研究者をマッチングし、共同研究を進める課題を募集した。令和元年度事業実施においては、「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、IRUD 研究者と iPS 研究者の共同研究を計 5 件マッチングさせた。</li> <li>－令和 2 年 3 月に疾患・組織別実用化研究拠点 拠点長会議を実施し、CiRA 提供株に関する情報交換を行う予定（新型コロナウイルス対応のため見直し中）である。</li> <li>－知財に関する支援課題（再生医療の実現化ハイウェイ 課題 C）を実施し、国際知財動向も踏まえ、必要に応じて大学知財部等との議論を行いつつ、iPS 細胞の分化誘導技術に関して知財サポートを実施した。</li> <li>－令和 2 年度分の幹細胞・イノベーション創出プログラム（令和元年 12 月</li> </ul>		
--	--	--	--	--	--	--

				<p>公募開始)において、若手枠を設定し、若手研究者の研究を公募した。      令和元年11月に「AMED 幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム公開シンポジウム」、令和2年2月に「AMED 再生医療公開シンポジウム」を開催した。各研究課題におけるアウトリーチについては公募要領の共通事項として記載、実施状況については中間・事後評価において評価を実施した。</p> <p>■指摘事項</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>疾患特異的 iPS 細胞バンクの利活用のため、製薬協、FIRM、COCN などとの連携を念頭とした事業運営を進めると同時に、スムーズな産学連携・利活用推進のためプロモーション・マーケティングの機能を有する外部専門機関を活用した事業検討を行うことが望まれる。</li> </ul> <p>【対応状況】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>令和元年9月に開催した企業意見交換会等においてニーズを把握し、令和2年度「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」の公募課題として、主に製薬企業等へ情報共有の仕組みを整備する「ヒト iPS 細胞情報共有・解析課題」や、理化学研究所バイオリソース研究センター(理研 BRC)のヒト iPS 細胞活用促進する「ヒト iPS 細胞バンク充実課題」、さらに、様々な iPS 細胞株やクローンで適用可能とするロバストな分化誘導法の開発を目指す「ロバストな分化誘導法開発課題」を設定した。</li> </ul> <p>■指摘事項</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>ヒト iPS 細胞由来心筋細胞を用いた心毒性評価について、引き続き、ICH 等での国際的な議論に資するべく、心毒性評価法の検証の継続が望まれる。</li> </ul> <p>【対応状況】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>培養プレート底面の加工によるヒト iPS 細胞由来心筋細胞の配向性の向上や、筋小胞機能向上作用のある薬物の添加による成熟の促進を確認した。また、国際化については、ICH (医薬品規制調査国際会議)に議題として提案しており、ドラフト作成のために ICH S7B/E14 のメンバーと議論を進めた。</li> </ul> <p>■指摘事項</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>「再生医療シーズ開発加速支援」では、薬事対応を見据えた製造方法の確立や非臨床試験等の実施に加えて、CRO 等の活用による産業化戦略の強化が期待される。</li> </ul> <p>【対応状況】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>ベンチャー企業を含む民間企業を対象として、臨床開発前段階シーズの迅速な臨床研究・治験への進展に資する課題2件、及び再生医療周辺要素技術の実用化に向けた課題3件について採択した。</li> </ul>		
--	--	--	--	--	--	--

					<p>■指摘事項</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>再生医療の実現を加速するためには、所管省庁の枠を超え、再生医療実現プロジェクト内外の事業間連携をさらに進めることが重要である。AMED には、これに必要な体制を主体的に構築することが望まれる。具体的には、事業所管省庁及び AMED の連絡会の開催その他連絡手段による情報共有の推進や、課内で各事業間の連携をより密に行うこと等が挙げられる。</li> </ul> <p>【対応状況】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>令和元年 9 月に実施した研究交流会では、全課題の研究者、並びに所管省庁の担当者が参加し、再生医療研究課の事業内、事業間連携を図った。機構内への積極的な働きかけにより医薬品規制課など計 6 課が参加して、機構内の情報交換も進めた。</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)—⑤	(2) 基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐプロジェクトの実施 ⑤オーダーメイド・ゲノム医療		
関連する政策・施策	—	当該事業実施に係る根拠（個別法条文など）	国立研究開発法人日本医療研究開発機構法（平成26年5月30日法律第49号）第16条
当該項目の重要度、困難度	重要度、優先度等は高い	関連する研究開発評価、政策評価・行政事業レビュー	健康・医療戦略の実行状況と今後の取組方針2019（令和元年6月20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2019（令和元年6月20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0040、文部科学省0244、復興-0056、厚生労働省899-5）

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	平成27年度	平成28年度	平成29年度	平成30年度	令和元年度		平成27年度	平成28年度	平成29年度	平成30年度	令和元年度
応募件数		24件	119件	34件	28件	100件	予算額（千円）	7,990,616	10,574,283	12,342,273	9,230,792	10,809,794
採択件数		8件	30件	5件	7件	14件	決算額（千円）	7,147,390	11,282,378	12,229,057	9,299,125	7,269,073
シンポジウム等の開催件数		0件	3件	6件	4件	0件	経常費用（千円）	7,148,876	11,242,578	12,290,430	9,379,508	7,310,185
サイトビジット・班会議・研究者打合せ・電話会議等の実施/参加回数		37件	43件	120件	115件	83件	経常利益（千円）	0	0	41	0	0
PS/PO 会議実施回数		17件	27件	23件	23件	27件	行政サービス実施コスト（千円）※令和元年度は、行政コスト（千円）	7,148,876	11,242,578	12,237,709	9,315,605	7,324,237
生活習慣病の劇的な改善、発がん予測診断等の治療反応性や副作用	少なくとも1つ以上達成	0件	0件	0件	3件	1件	従事人員数	7人	18人	13人	9人	10人

<p>の予測診断の確立、うつ・認知症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)</p>													
--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--

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								
				主な業務実績等					自己評価		主務大臣による評価	
											評価	
<p>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</p>	<p>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</p>	<p>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</p>	<p>&lt;評価軸&gt; ・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。 &lt;モニタリング指標&gt; ・左記の評価軸に</p>	<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:TMM） <u>健常者の生体試料・健康情報等の収集</u> ・同意に基づき宮城県・岩手県の住民から生体試料及び健康情報（調査票）を収集するコホート調査を行い、これら試料・情報を広く全国の研究者の医学研究への利活用のために提供するバイオバンクの構築を継続した。 ・平成29年度から開始した詳細二次調査については、令和元年度は宮城県では2月末時点で1.86万人実施していたが、新型コロナウイルス感染症の影響により当初計画どおりの実施が困難となったため、年度目標に足りない分については次年度以降に実施し目標達成見込みである。岩手県では2月末時点で0.74万人実施し、年度目標を達成した。 ・令和元年度には、6万7千人分の地域住民コホート調査参加者の試料・情報や、三世代コホート調査参加者のヘプタファミリーの試料・情報について分譲を開始し、個別化予防・医療の加速に貢献した。 ・全国の研究者が、遠隔地から東北大学東北メディカル・メガバンク機構に設置したスパコンにアクセスして、セキュリティを担保しつつ利活用</p>					<p>&lt;評価と根拠&gt; 評価：A 国内の3大バイオバンクの連携をバイオバンク横断システムの公開を通じ強化するとともに、欧米主要国の取組と連携して、疾患ゲノム情報のデータシェアに資する取組を進め、国内外のプレゼンスを高めた。さらに、mRNAデータに関するデータベースの公開による国内製薬企業での薬事承認への活用が実現したほか、ゲノム医療研究においては、世界で初めての長鎖シーケンサーを用いた疾患解明等を進めるなど医療実装につながる研究成果も得られるなど、大変優れた成果が得られたと言える。以上より、「研究開発成果の最大</p>		<p>評価</p>	

<p>進する。 具体的には、疾患及び健常者バイオバンクを構築すると共にゲノム解析情報及び臨床情報等を含めたデータ解析を実施し、疾患の発症原因や薬剤反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>進する。 具体的には、疾患及び健常者バイオバンクを構築するために、全国の患者及び東日本大震災の被災地の住民の協力を得て、生体試料や臨床情報等を収集する。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>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図る。 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。 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</p>	<p>係る取組状況等</p>	<p>できるようにするために、平成27年より遠隔セキュリティエリアの整備を継続し、令和元年度には3拠点増加し(累計22拠点)、より利便性が高いものとなった。これに伴い、前年度比10%増の利用促進効果があった。</p> <p><u>日本人標準ゲノム配列の特定</u></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>日本人標準ゲノム配列の特定のため、日本人全ゲノムリファレンスパネルの規模と制度の拡充を目指し、令和元年度も全ゲノム解析を継続し、令和元年度末までに総計8,000人以上の解析が終了した(令和元年度第1回調整費)。</li> <li>令和元年9月に4,700人分の全ゲノム解読情報に基づくアレル頻度パネル(4.7KJPN)を公開し、約200件程度のダウンロードがあった。3,500人分のデータ公開(3.5KJPNv2,平成30年6月)と比べ約2倍のダウンロード実績となった。</li> </ul> <p><u>疾患研究等での活用</u></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>健常人全ゲノムリファレンスパネルの活用等により、未診断疾患イニシアチブ(IRUD)全体で、令和元年度末までに、累計4600家系以上の未診断状態の患者さんのゲノム解析が加速した。</li> <li>平成29年に開発した、ゲノム情報に基づく脳梗塞発症のリスク予測法(iPGM)を用い、令和元年度には久山町コホートと連携し、脳梗塞iPGMの前向きコホートでの検証を行い、個別化医療・予防におけるiPGMの有用性を示した。</li> <li>平成26年7月から開始した、震災後のうつ病や心的外傷後ストレス反応などの精神疾患や脳認知機能低下等を調査するためのMRI撮像は累計1万人以上実施した。なお、緊急性を要するケースについては、緊急回付の形で早急にお知らせする体制を整え、令和元年度までに240件について医療機関での治療につなげ、被災地住民の健康維持に貢献した。1万人を超えるMRI撮像を含む軽度認知症のための解析基盤確立に向け、令和元年度は取得アレイデータのクリーニング・インピュテーションを実施し、分譲用データセットを作成した。</li> <li>平成30年度にパイロット研究で試験運用を開始した、国内初のWeb入力型疾患リスク評価ツール「family-t」については、令和2年度の一般公開に向けて、令和元年度にパイロット研究を実施した。</li> </ul> <p>■患者のバイオバンクの構築(ゲノム研究バイオバンク事業(旧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(BBJ)については、ゲ</li> </ul>	<p>化」に向けて顕著な成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められる。なお、令和元年度において予算額と決算額の差異が約35.4億円発生しているが、これは主として医療分野の研究開発関連の調整費(令和元年度第2回配分)について令和2年度に繰越を行ったため、予算額と決算額の乖離が生じた。</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4.7KJPN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</li> </ul>
--	---	---	----------------	--	--

		<p>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>ノム研究バイオバンク事業として、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)における「貯めるだけでなく、活用されるバンク」を受け、これまでに構築した約27万人分のバイオバンク・ジャパンの試料・情報の利活用を促進するための広報活動を、広く研究者・企業に対して行った(クリニカルバイオバンク学会、日本癌学会学術総会、BioJapan2019等の学会・イベントにおけるブース出展・ポスター展示12件、および、延べ16社を対象とした企業向け説明会・バンク見学会8件)。さらに、ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業により3大バイオバンク等の試料・情報の横断的な検索を可能とする「バイオバンク横断検索システム」との連携、および、「バイオバンク・ジャパン保有試料検索システム」の利便性を更に向上させることにより、試料・情報の外部研究者への更なる利活用の促進へと繋がる取組を行った。以上の取組により、令和元年度は従来の実績を大きく上回る配布を行った。(DNA14,146件、血清1,274件、臨床情報・ゲノム情報363,633件、検索システム利用833件)</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・バンク試料の活用幅を広げる血清パネルの配布を令和元年度から開始した。</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を進める等、各種支援活動を進めた。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)の運用を通じ、全ゲノム情報等の利活用を進めた。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> </ul>	<p>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。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・海外への対応など、利活用の更なる促進のためには当初の同意を超えた対応が必要となるため、アドバイザリーボード等の助言を受けながら、条件の検討を行っていく。</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>・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。</li> </ul>	
--	--	---	--	---	---	--

				<ul style="list-style-type: none"> <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) との協力を「GEM-Japan」プロジェクトとして進め、国際的なデータシェアリングの加速に貢献した。</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) 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。</li> </ul> <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>・国内バイオバンク、コホート施設を運営している関係者との情報交換・意見交換を通じた、国内バイオバンク間のネットワーク形成を目的に、平成 29 年度より AMED において「バイオバンク連絡会」を開催した。令和 2 年 3 月末時点において累計 9 回開催し、各回 100 名以上が参加し、ネットワーク形成を促進した。</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、バイオバンク等がこれまで収集してきた試料・情報の利活用を促進する環境整備の一環として、ゲノム解析データのクラウド等利用に係る倫理的・技術的課題の調査を実施し、本年度は、実証的に既存の日本人 GWAS 解析データを網羅的に収集するデータ基盤の構築を行うための研究開発課題（国際的なデータシェアリングに関する課題解決のための調査研究及び開発研究）を開始した。</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）により、以下の成果を得られた。 <ul style="list-style-type: none"> <li>平成 28 年度に 8 課題、平成 30 年度に 2 課題、令和元年度に 6 課題を採択し、各課題を継続した。令和元年度には、KANNO 抗原という既知の血液型と一致しない血液を持つヒトの全ゲノム解析を行うことで、その血液型抗原の原因変異を同定し、37 番目の新たな血液型であることを明らかにし、日本の研究グループが初めて血液型を特定するなどした。ロングリードシーケンサーを用いた全ゲノム配列の解析を行うことで、別々の 3 疾患（神経核内封入体病・白質脳症を伴う眼咽頭型ミオパチー・眼咽頭遠位型ミオパチー）に共通する原因がヒトゲノム CGG 塩基の繰り返し配列の異常伸長であることを解明した。</li> </ul> </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>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。今後はアンメットメディカルニーズが存在し、社会的ニーズが大きいと見込まれる疾患研究への取り組みも実施する必要がある。</li> </ul>	
<p>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。</p>	<p>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。</p>	<p>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>	<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したか。</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>臨床ゲノム統合データベース整備事業により、以下の成果を得られた。 <ul style="list-style-type: none"> <li>平成 30 年度末で遺伝子解析を目的とする事業（一次班）が終了したことを受け、令和元年度には、クリニカルシーケンスや学会、ナショナルセンターが所有するレガシーデータ、他事業、および一次班の未整理データの収集を行った。学会については、日本小児科学会、日本遺伝性腫瘍学会、日本人類遺伝学会と連携してデータを収集した。さらに、他事業の協力により、ゲノム創薬基盤推進研究事業、ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業、ゲノム研究バイオバンク事業の解析結果についても登録を得た。更に、ゲノム創薬基盤推進研究事業と協力して、本事業等で得られた臨床的意義が不明なバリエーション (VUS) を対象として、網羅的に意義付けを可能とする技術開発を目的とする課題の公募を行い、この成果を MGeND に登録する体制を整備した。</li> <li>MGeND へのデータ登録数は、令和元年度末時点で以下のとおりとなった。 <ul style="list-style-type: none"> <li>希少・難治疾患 18,584 変異</li> <li>がん 14,869 変異</li> <li>感染症 156,408 変異 (GWAS, HLA を含む)</li> <li>認知症 410 変異 (GWAS を含む)</li> <li>他事業 4,217 変異 (HLA を含む)</li> </ul> </li> </ul> </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>平成 30 年度末で終了した一次班のデータ基盤を引き続き、さらなるデータ収集体制の拡充のため、遺伝子検査、学会、他事業 (IRUD、RADDAR-J、C-CAT) との連携を検討・整備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>データ収集体制の更なる拡充</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>20 万件 (GWAS を含む) を超えるデータ登録があり、ClinVar にはない日本人集団に特有のデータ蓄積が進んでいることは大いに評価できる。</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>- 合計 194,488 変異 (GWAS, HLA を含む)</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>➢ なお、MGeND 登録バリエーションの 2,212 件が ClinVar にも登録されているが、このうち 1,489 件(67%)については、疾患関連エビデンスの違い (日本人集団の特異性) があることを明らかにした。</li> <li>➢ MGeND の利用促進のため、パンフレットを作成し、学会で宣伝活動を行うとともに、関係研究者からの意見を踏まえ機能改善を図った。</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>・臨床ゲノム情報統合データベース整備事業により、以下の成果を得られた。</li> <li>➢ 昨年度先進医療 B を経てコンビネーション医療機器として製造販売承認を取得した「NCC オンコパネル」は、日本人のがんゲノム変異の特徴を踏まえた遺伝子パネル検査として今年度、保険収載された。</li> <li>➢ クリニカルシーケンスで得られたバリエーションの臨床的意義付け作業を効率化するため開発された、AI 技術を活用した支援システムは、東京大学医科学研究所および愛知県がんセンターにおいて、がんゲノム医療の現場に実装された。電子カルテにおける抗がん剤治療に関するデータをデータベース化する「サイバーオンコロジー®」という技術を、異なる電子カルテのデータも統合できるシステムに発展させた成果は、京大と NTT により事業化 (「新医療リアルワールドデータ研究機構株式会社」を設立) された。</li> <li>・ゲノム創薬基盤推進研究事業により、以下の成果を得られた。</li> <li>➢ 令和元年度には、「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- (改定第 2 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 (改定版)」を公開し、本提言は、今年度保険診療となったがん遺伝子パネル検査等のゲノム医療の実施において活用が期待される。</li> <li>➢ 平成 30 年 6 月に公開したヒト Pre-mRNA/mRNA 及び DNA データベース ; D3G (テスト版) に、非ヒト霊長類の pre-mRNA/mRNA データを加えたデータベース (α 版) を令和元年 6 月に公開した。本データベースは国内製薬企業で薬事承認に活用されており、今後の医療分野の進展に期待される</li> </ul>	<p>&lt;今後の課題&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・MGeND データの利活用を更に促進する。</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>・AI 技術を活用した支援システムが医療現場での実用が始まったこと、電子カルテをゲノム情報の統合システムが事業化したことは、大いに評価できる。</li> <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>・社会実装された成果の活用事例の追跡</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</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</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</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</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</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</li> </ul>	

<p>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>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>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た検査結果説明、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>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。</p> <p>＜モニタリング指標＞</p> <p>・左記の評価軸に係る取組状況等</p>	<p>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おり、以下の成果を得られた。</p> <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> <p>▶ゲノム医療が急速に普及し、遺伝子関連検査を実施する臨床検査室の客観性と信頼性を確保するために「遺伝子関連検査のための ISO15189 ガイダンス文書」を発行した。また、バイオバンクの生体試料の管理においても同様に管理体制の比較可能性を確保するためにバイオバンク自己点検票を作成し公表した。「ゲノム医療における情報伝達プロセスに関する提言 -その1：がん遺伝子パネル検査を中心に-（改定第2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（改定版）」を公開し、本提言は、今年度保険診療となったがん遺伝子パネル検査等のゲノム医療の実施において活用が期待される。（再掲）</p> <p>▶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、本年度 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、延べ2,000名以上の医療従事者に対し講習会を実施し、社会的ニーズが求められているゲノム医療の底上げに貢献した。</p> <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> <p>▶平成30年6月に公開した、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；D3G（テスト版）に、非ヒト霊長類の pre-mRNA/mRNA データを加えたデータベース（α版）を令和元年6月に公開した。本データベースは国内製薬企業で薬事承認に活用されており、今後の医療分野の進展に期待される。</p> <p>■網羅的生態情報を活用したゲノム診断・ゲノム医療に資する研究</p> <p>・ゲノム創薬基盤推進研究事業により、以下の成果を得られた。</p> <p>▶MGeND で収集されたゲノム情報等を創薬等へ利活用するために、ゲノム創薬基盤推進研究事業において、ファーマコゲノミクスにより効果的・効率的薬剤投与を実現する基盤研究として2課題、遺伝性疾患のゲノム解析で得られた VUS への機能的アノテーションに資する基盤研</p>	<p>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。</p> <p>＜今後の課題＞</p> <p>・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。</p> <p>・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した。</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>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>—</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</li> </ul>	<p>究として2課題を採択し、研究開発支援を開始した。</p> <p>■医療分野研究開発推進計画 達成すべき成果目標（KPI）</p> <p><u>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：</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により、以下の成果を得られた。 <ul style="list-style-type: none"> <li>▶ 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、令和元年度には、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型糖尿病の重症化症例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> </ul> <p><u>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：</u></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より、以下の成果を得られた。 <ul style="list-style-type: none"> <li>▶ 昨年度先進医療Bを経てコンビネーション医療機器として製造販売承認を取得した「NCC オンコパネル」は、日本人のがんゲノム変異の特徴を踏まえた遺伝子パネル検査として今年度、保険収載された。（再掲）</li> <li>▶ クリニカルシーケンスで得られたバリエーションの臨床的意義付け作業を効率化するため開発された、AI技術を活用した支援システムは、東京大学医科学研究所および愛知県がんセンターにおいて、がんゲノム医療の現場に実装された。（再掲）</li> <li>▶ 電子カルテにおける抗がん剤治療に関するデータをデータベース化する「サイバーオンコロジー®」という技術を、異なる電子カルテのデータも統合できるシステムに発展させた成果は、京大とNTTにより事業化（「新医療リアルワールドデータ研究機構株式会社」を設立）された。（再掲）</li> </ul> </li> </ul> <p><u>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：</u></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より、以下の成果を得られた。 <ul style="list-style-type: none"> <li>▶ 難聴領域においては、ACMGガイドライン改訂に基づくClinGenの新しい病原性判断基準に準拠した形で病原性判定を行うことができるようデータストレージのシステム改変を行うとともに、格納されてい</li> </ul> </li> </ul>		
--	--	----------	---	---	--	--

				<p>施した課題数</p> <p>る約 10,000 変異について再アノテーションを実施して MGeND に登録した。</p> <p><u>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:</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により、以下の成果をえら得た。 <ul style="list-style-type: none"> <li>令和元年度に 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、神経細胞死抑制効果を示す新規抗パーキンソン病薬を見出した。</li> </ul> </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：ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業及びゲノム創薬基盤推進研究事業において、応募件数が 100 件あり、そのうち 14 件が採択された</li> <li>事業に参画している研究者延べ人数：1,542 人（疾患克服に向けたゲノム医療実現プロジェクト）</li> <li>PMDA への薬事戦略相談を行った研究開発課題数：0 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：20 件</li> </ul> <p>&lt;平成 30 年度の業務実績、第 1 期中長期目標期間終了時に見込まれる業務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>若手研究者の育成をさらに推進するべきである。</li> </ul> <p>【対応状況】</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では、若手研究者が代表者として主体的に研究を推進していく課題を募集し、既存の生体試料やゲノム情報を解析しゲノム医療推進に役立つ知識を発見できる疾患研究や新しい情報解析技術の開発を目的とした研究開発を開始した。</li> <li>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) の「GEM-Japan」プロジェクトでは、データサイエンスを含む多くの若手研究者が各ワーキンググループに参画し、国際活動を通じた人材育成が実現している。</li> </ul> <p>■指摘事項</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>臨床の現場や研究機関における課題を十分に把握し、研究開発マネジメントに反映させることに一層取り組むことが求められる。</li> </ul> <p>【対応状況】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>臨床の現場の課題を十分に把握している外部有識者から研究開発にかかる助言をもらう機会の設定、PS/PO がサイトビジットを実施することに</li> </ul>		
--	--	--	--	--	--	--

				<p>よる研究機関における課題の把握と研究開発への助言など、研究開発マネジメントを適切に行った。(参考:【東北メディカル・メガバンク計画】20回、【BBJ】13回、【ゲノプラ】23回、【臨ゲノ】5回、【ゲノ創】225回 ※令和元年度のサイトビジット・班会議・研究者打合せ等の累積)</p> <p>■指摘事項</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>AMSによる分析結果等を更なる研究開発マネジメントの向上に活用していくことが望まれる。</li> </ul> <p>【対応状況】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>ゲノム創薬基盤推進研究事業において、令和元年度新規公募(C領域、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)をするにあたり、AMSにて関連する研究開発課題がどの程度採択されているか、またどのような内容の研究計画になっているか、を調査し、公募内容の検討に活用した。</li> </ul> <p>■指摘事項</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>データサイエンティスト等の研究を支援する人材の育成にも取り組むべきである。</li> </ul> <p>【対応状況】</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(先端ゲノム研究開発)において、若手研究者を対象とした新しい情報解析技術の開発を目的とした新規公募を実施し、6件の採択課題を採択した。令和元年10月頃より研究開発を開始する。</li> <li>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)の「GEM-Japan」プロジェクトでは、データサイエンスを含む多くの若手研究者が各ワーキンググループに参画し、国際活動を通じた人材育成が実現している。(再掲)</li> </ul> <p>■指摘事項</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>ライフサイエンスにかかるデータベースに関して、重複なく必要不可欠な項目のフォーマットの統一化・標準化について、国際的なデータ連結を視野に入れた速やかな検討が求められる。</li> </ul> <p>【対応状況】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>ゲノム医療データについては、引き続きAMEDのGEM JapanがGA4GHの</li> </ul>		
--	--	--	--	---	--	--

				<p>Driver Project に参画し、データシェアリングの世界的標準を策定する Work Stream への参加を通じて、フォーマットの統一化・標準化の検討に取り組んだ。そのうち、10K プロジェクトでは、JST/NBDC の協力を得て、東北メディカル・メガバンク、バイオバンク・ジャパン、理化学研究所が解析した全ゲノムデータの再解析を実施する等、ゲノム解析プロトコルの標準化の検討を進めた。</p> <p>&lt;平成 30 年度の業務実績に係る主務大臣評価を踏まえた課題&gt;</p> <p>■指摘事項</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>東北メディカル・メガバンク計画においては、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、公開を更に加速する必要がある。</li> </ul> <p>【対応状況】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>東北メディカル・メガバンク計画の全体計画に示された目標の達成に向けて、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・全ゲノム解析等を着実に進めた。また、バイオバンク横断検索システム（ゲノム研究プラットフォーム利活用事業）との連携等を通じて、試料・情報の外部研究者への更なる分譲、公開を強化、加速に取り組めるような取組を行った。</li> </ul> <p>■指摘事項</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の先端ゲノム研究開発の多因子疾患研究においては、研究開始後 5 年以内に実用化に向けた検証や臨床研究へ移行できるよう、進捗管理等を着実に実施する必要がある。</li> </ul> <p>【対応状況】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>平成 28 年度開始の 4 課題と平成 30 年度開始の 2 課題の計 6 課題について、6 月から 7 月にかけて実施したサイトビジットなどにより進捗状況を確認した。次年度の中間・事後評価に向け、引き続き、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、進捗管理を行うとともに、関連課と連携して導出先として想定される他の事業の内容についても確認を行った。</li> </ul> <p>■指摘事項</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>ゲノム研究バイオバンク事業においては、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>【対応状況】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>これまでに構築した約 27 万人分のバイオバンク・ジャパンの試料・情</li> </ul>		
--	--	--	--	--	--	--

				<p>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ており、令和元年度は従来の実績を大きく上回る配布を行った。(DNA14,146件、血清1,274件、臨床情報・ゲノム情報363,633件、検索システム利用833件)</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により3大バイオバンク等の試料・情報の横断的な検索を可能とする「バイオバンク横断検索システム」との連携、および、「バイオバンク・ジャパン保有試料検索システム」の利便性を更に向上させることにより、試料・情報の外部研究者への更なる利活用の促進へと繋がる取組を行った。</li> </ul> <p>■指摘事項</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、高い有効性・安全性を有する医薬品シーズ等を効率よく探索・同定するための基盤的な研究等を進める必要がある。</li> </ul> <p>【対応状況】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>効率よく探索・同定するための基盤的な研究等を進めるために、研究課題推進の支援を通じて、データベースの構築(D3G)に向けた基盤研究に取り組めるよう管理を行い、特に以下の項目について具体的に取り組んだ。</li> <li>核酸医薬創薬の際、有効性・安全性評価が可能となるような霊長類(ヒト・カニクイザル・マーモセット)RNAデータベースを構築し、公開した。</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、他事業と連携してMGeNDのデータ登録を更に推進するとともに、MGeNDのデータを利活用した研究を更に促進する必要がある。</li> </ul> <p>【対応状況】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>MGeNDのデータの利活用の拡大のため各種学会にて広報活動を実施するとともに、ゲノム創薬基盤推進研究事業においてMGeNDのデータ等を利活用する研究課題を設置した。</li> <li>「データシェアリングポリシー」に基づき、AMED他事業(IRUDおよびRADDAR-J)と連携してMGeNDのデータ登録を推進した。更に、C-CATと連携してパネル検査で報告されるバリエーション情報をMGeNDに登録する方法について検討を開始した。</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)-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2019（令和元年6月20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2019（令和元年6月20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0040、文部科学省0244、厚生労働省899-6、経済産業省0030・0031）

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	平成27年度	平成28年度	平成29年度	平成30年度	令和元年度		平成27年度	平成28年度	平成29年度	平成30年度	令和元年度
応募件数		391件	1,246件	644件	723件	599件	予算額（千円）	14,916,323	14,136,674	13,642,840	12,815,913	14,700,132
採択件数		54件	244件	83件	135件	133件	決算額（千円）	14,609,045	13,931,411	13,446,193	12,733,781	12,533,274
シンポジウム等の開催件数		3件	4件	4件	3件	2件	経常費用（千円）	14,599,640	14,442,670	13,649,316	12,949,885	12,678,905
サイトビジット実施/参加回数		279件	290件	291件	265件	345件	経常利益（千円）	0	0	0	0	0
PS/PO会議実施回数		8件	15件	19件	16件	17件	行政サービス実施コスト（千円）※令和元年度は、行政コスト（千円）	14,599,640	14,442,670	13,433,496	12,736,127	12,706,855
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	15種	従事人員数	21人	21人	20人	21人	21人
小児がん、難治性がん、希少がん等に関して、未承認薬・適応外薬を含む治療薬の実用化に向けた治験への導出	12種以上	9種	20種	21種	26種	31種						
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	1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)	3 件							
---	------------	------------	------------	---------------	---------------	-----	--	--	--	--	--	--	--

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					
				主な業務実績等		自己評価		主務大臣による評価	
								評価	
<p>がん対策推進基本計画 (平成24 年6月8日閣議決定) に基づき策定された「がん研究10か年戦略」 (平成26 年3月関係3大臣確認) を踏まえ、関係省の所管する研究関連事業の連携の下、がんの本態解明等に係る基礎研究から実用化に向けた研究まで一体的に推進する。</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</p>	<p>がん対策推進基本計画 (平成24 年6月8日閣議決定) に基づき策定された「がん研究10か年戦略」 (平成26 年3月関係3大臣確認) を踏まえ、関係省の所管する研究関連事業の連携の下、がんの本態解明等に係る基礎研究から実用化に向けた研究まで一体的に推進する。</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</p>	<p>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、</p>	<p>&lt;評価軸&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>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。</li> <li>臨床・ゲノム情報基盤を整備しビッグデータを活用することによって個別化医療の実現、国際的な貢献を果たしたか。</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>■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)</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>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先進的医療機器・システム等技術開発事業の PO も一部参加する形で PD/PS/PO 会議を年度内に3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345回行った。</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、両事業のサポート機関による研究倫理研修の合同開催などを通じて、事業の枠を超え連携を強化した。</li> <li>難治性がん研究を加速するためのモデルケースとして、次世代がん医療創生研究事業と革新的がん医療実用化研究事業のサポート機関が協力して、両事業で支援している隣がん関連課題の相互関係を分析した俯瞰図を作成した。それにより全体像を把握した上で、PD/PS/PO 会議において、今後の効果的な支援や連携に向けた検討を行い、事業の枠を超えた横断的な議論の場の設置を進める方針を取り纏めた。</li> </ul>	<p>&lt;評価と根拠&gt;</p> <p>評価：A</p> <p>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、①液体のりの主成分を利用してホウ素中性子捕捉療法の効果を劇的に向上、世界規模の国際ネットワークによるがん種横断的全ゲノム解析プロジェクトに参画しヒトがんゲノム全体像の解明、再発・難治性 ALK 陽性未分化大細胞リンパ腫に対する ALK 阻害剤の薬事承認取得など、顕著な研究成果を挙げた。</p> <p>②事業の枠を超え次世代がん・革新がん両サポート機関の連携強化、延長制度導入などで有望な研究成果を次のステージにつないで実用化加速、課題紹介リーフレット集配布を通じて企業導出を促進、③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</p>				

<p>よって個別化医療の実現、国際的な貢献を果たす。</p>	<p>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に、評価委員会の質的向上を図る。</p>	<p>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に、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ん研究を推進する。</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、128課題（前年度からの継続課題。令和元年度研究費予算総額：3,967百万円）を今年度当初より支援した。令和元年度公募にて22課題を追加採択し、合計150課題の研究管理を行った。</li> <li>・PS/P0会議を年間7回、PS、P0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>・次世代がん医療創生研究事業中間評価報告書（令和元年6月）を踏まえ、令和2年度一次公募において応用研究の公募枠を新たに設定し、標的探索研究の有望な研究課題の応用研究へのステージアップを可能とすることで、優れた研究成果を次のステージへ移行させる仕組みを確保した。</li> <li>・国際的に活躍できる若手研究者の育成を目指して、令和元年度公募において海外研究機関との連携を盛り込んだ研究提案を対象とする若手研究者育成枠を設定し、新たに国際レビューによる査読を導入し3課題を採択して、国際連携を活用した研究を開始した。</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233課題（前年度からの継続課題、一次公募採択課題。令和元年度研究費予算総額：8,752百万円）を年度当初より支援した。第1回調整費により一次公募の採択保留1課題を追加採択するとともに、二次公募を実施して15課題を追加採択し、合計249課題の研究管理を行った。</li> <li>・PS/P0会議を年間10回、P0も参加する班会議を年間159回開催し、進捗把握と事業の推進に努めた。</li> <li>・令和2年度一次公募の評価委員に生物統計の専門家を増員し、データサイエンスに係る評価の質向上に取り組んだ。</li> <li>・シームレスな研究支援によって研究成果を次のステージにスムーズにつなぐため、きめ細やかな研究進捗管理に基づき最大2年間研究期間を延長できる制度を新たに設計し、令和元年度終了予定の122課題のうち8課題に適用して、実用化に向けた研究成果の最大化を図った。</li> <li>・「がん研究10か年戦略」の推進に関する報告書（中間評価）（令和元年4月）に対応するため、令和2年度一次公募において高齢者の特性に適した支持療法や治療法の開発のための臨床試験の公募枠を設定し、高齢者のがんに関する研究を推進した。</li> </ul>	<p>を推進した。さらに、④KPI目標値を超える治験導出を実現するなど、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。なお、令和元年度において予算額と決算額の差異が約21.7億円発生しているが、これは主として医療分野の研究開発関連の調整費（令和元年度第2回配分）について令和2年度に繰越を行ったため、予算額と決算額の乖離が生じた。</p>	
<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</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</p>	<p>また、AMEDが実施する研究において、がんに関する研</p>	<p>&lt;評価軸&gt; ・臨床研究及び治験で得られた</p>	<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148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、P0同席のもと、19課題</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</li> </ul>	

<p>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>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、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>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について、臨床研究及び治験に導出する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</p>	<p>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。</p> <p>＜モニタリング指標＞</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>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。</p> <ul style="list-style-type: none"> <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> </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、国内の臨床試験の実施状況等を俯瞰する研究開発マップのがん種の拡充、研究情報マッピングの英語文献対応などを実施し、PS、PO に共有を行った。</li> <li>・研究データの統合的利活用を促進するため、令和 2 年度一次公募から「ゲノム医療実現のためのデータシェアリングポリシー」を導入し、網羅的ゲノム解析に関する研究の新規採択課題を対象に適用を開始することとした。</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では、リバース・トランスレーショナル・リサーチの推進を令和 2 年度概算要求に盛り込むとともに、令和元年度二次公募の若手育成枠において臨床現場から得られたニーズ・課題の把握やデータ等の利活用が可能な提案を優先的に採択する旨、公募要項に記載し、該当する新規課題を採択した。</li> <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ス・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> </ul> <p>■データベース等の研究資源を戦略的に活用する取組</p> <ul style="list-style-type: none"> <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）に令和元年 2 月正式加盟したことで、会員専用のホットラインやデータベースを公募策定等の戦略立案に活用すべく、電話会議等を通じて海外の加盟機関との情報共有を開始した。</li> </ul> <p>■産業界・若手研究者を含む人的交流の活性化に関する取組</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・アカデミアシーズに対する企業関係者の理解増進を通じて研究成果の企業導出を促進するため、BioJapan2019 の AMED プースで、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活動や研究成果を紹介するポスター展示を行った。さらに、両事業の研究課題</li> </ul>	<p>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で、有望シーズの速やかな育成に資すると期待される。</p> <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>・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どうしの協力によって、異分野技術の融合を通じたリバース・トランスレーショナル・リサーチを推進するための基盤が整備された。</li> <li>・研究開発課題紹介リーフレット集を作成し、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>・若手ワークショップでは他の疾患領域の事業も参加するとともに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>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>を紹介するリーフレット集を作成し、展示ブース来訪者、製薬協及び臨薬協の加盟企業のうち希望のあった数十社の企業関係者に配布し、産業界への積極的な情報提供に取り組んだ。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・がんの早期診断バイオマーカーの研究成果について米国 NCI (National Cancer Institute) と第7回日米合同ワークショップを令和2年1月に東京で開催し、これまでの両国シーズの相互評価に係る成果を踏まえて、国際的な共同研究における課題の克服に向けた意見交換を行った。</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、および再生医療実現プロジェクトの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)の若手研究者が参加して、異分野交流をテーマにした第5回AMEDがん若手研究者ワークショップを開催した。多角的な視野を養成することを目指し、近年注目される人工知能を取り上げるとともに、事業やプロジェクトの枠を超えた若手研究者間の交流を促進した。</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</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</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>・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> </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:15種(うち令和元年度に1種)達成 ※目標10種以上(導出例) <ul style="list-style-type: none"> <li>➢ 慢性骨髄性白血病に対する新規PAI-1阻害剤併用療法</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>➢ 非小細胞肺癌に対する新規ペプチドワクチン維持療法</li> <li>➢ 希少がんに対するウイルス療法</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:31種(うち令和元年度に5種)達成 ※目標12種以上(導出例) <ul style="list-style-type: none"> <li>➢ ROS1 融合遺伝子陽性の進行固形がんに対する治療開発</li> <li>➢ 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</li> <li>➢ HER2 増幅固形癌に対する多剤併用療法</li> <li>➢ FGFR 遺伝子異常を有する難治性切除不能進行・再発固形がんに対する医師主導治験</li> <li>➢ MET 遺伝子異常陽性の進行非小細胞肺癌に対する治療開発</li> <li>➢ 難治性神経芽腫に対するエピジェネティック治療開発</li> </ul> </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:15種(うち令和元年度に1種)(令和2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:31種(うち令和元年度に5種)(令和2年頃までの達成目標:12種)など、令和2年頃までに達成すべき成果目標の一部で所期の目標を大きく上回るとともに、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:1種(うち令和元年度に1種)(令和2年頃までの達成目標:1種)などを含め、令和2年頃までに達成すべき成果目標のすべてを期限内に達成することができた。</li> </ul>	

<p>た、国際基準に準拠した臨床研究等の推進</p> <p>・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。</p>	<p>た、国際基準に準拠した臨床研究等の推進</p> <p>・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。</p>		<p>・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）</p> <p>&lt;モニタリング指標&gt;</p> <p>・応募件数及び採択件数</p> <p>・事業に参画している研究者延べ人数</p> <p>・PMDA への薬事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>➤ 難治急性リンパ性白血病に対する多剤併用療法</p> <p>・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：1種（うち令和元年度に1種）達成 ※目標1種以上（成果例）</p> <p>➤ 再発又は難治性ALK陽性未分化大細胞リンパ腫に対するALK阻害剤アレクチニブの効能追加（令和2年2月21日承認）</p> <p>・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）解消の推進状況：希少がん等に関して新規薬剤開発及び未承認薬の適応拡大を目指した臨床試験を実施し、ドラッグ・ラグ、デバイス・ラグの解消に寄与した。</p> <p>（数値データ）</p> <p>➤ 平成29年度に抗悪性腫瘍剤分野に承認申請された新有効成分医薬品に関する米国との申請時期の差の中央値0.2年</p> <p>➤ 平成25年度の厚生労働科学研究 研究班による調査における開発着手ラグ37.5ヶ月</p> <p>・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：3件（うち令和元年度に2件）達成 ※目標3件以上（成果例）</p> <p>➤ がん患者の妊孕性温存のための診療マニュアル（令和元年5月30日発行）</p> <p>➤ 小児・AYA世代の腫瘍に対する陽子線治療診療ガイドライン2019年版（令和元年4月1日発行）</p> <p>➤ 頭頸部癌診療ガイドライン2018年版（平成29年12月発行）</p> <p>・応募件数及び採択件数：599件及び133件</p> <p>・事業に参画している研究者延べ人数：2,719人</p> <p>・PMDAへの薬事戦略相談を行った研究開発課題数：6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：51件</p> <p>&lt;平成30年度の業務実績、第1期中長期目標期間終了時に見込まれる業務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>・若手研究者の育成をさらに推進するべきである。</p> <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令和元年度公募ならびに革新的がん医療実用化研究事業の令和元年度二次公募において若手研究者育成枠を設定し、それぞれ 3 件及び 10 件の研究開発課題を採択して、継続的な若手研究者育成に取り組んだ。</li> <li>・ 国際的に活躍できる若手人材の育成を図るため、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、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海外研修支援プロジェクトを平成 30 年度から開始しており、令和元年度は、若手研究者の多様なニーズに柔軟に対応すべく派遣期間ごとに 3 コースの募集枠を設定するとともに、派遣人数を 5 名（前年度 2 名）に拡充して、制度の更なる充実を図った。</li> </ul> <p>■指摘事項</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・臨床の現場や研究機関における課題を十分に把握し、研究開発マネジメントに反映させることに一層取り組むことが求められる。</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及び革新的がん医療実用化研究事業ではサポート機関を設置して、各研究開発課題の進捗を経時的に整理し、PS、PO による研究開発マネジメントに活用する体制を構築しており、研究推進上のボトルネックや知財、倫理対応など、臨床の現場や研究機関における課題を把握し、適時適切な支援に役立てている。令和元年度は両事業のサポート機関が合同で研究倫理研修会を 2 回開催して、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。また、次世代がん医療創生研究事業及び革新的がん医療実用化研究事業の両サポート機関では、研究機関向けの知財・研究倫理コンサルテーション・サービスを実施し、令和元年度内に合計 10 件の相談に対応した。</li> <li>・ 革新的がん医療実用化研究事業においては、臨床研究法に則った体制整備等を支援するため研究費の追加配賦を平成 30 年度に実施するとともに、令和元年度は症例登録の進捗に遅れが認められる研究開発課題のサイトビジットや中間評価を実施し、臨床現場や研究機関における課題を把握した上で、研究費の適正化や研究プロトコルの変更等、効果的・効率的な研究推進に向けたマネジメントを行った。</li> </ul> <p>■指摘事項</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・AMS による分析結果等を更なる研究開発マネジメントの向上に活用していくことが望まれる。</li> </ul> <p>【対応状況】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・ 革新的がん医療実用化研究事業では、がん分野の世界的動向を把</li> </ul>		
--	--	--	--	--	--	--

				<p>握・俯瞰し公募策定等に役立てるために、サポート機関において、国内外のがん分野の論文、特許、研究費配分等のデータ分析を行っており、機構内の基盤研究事業部との連携を通じて AMS データを本分析に提供し、研究開発マネジメントの向上に役立てている。</p> <p>■指摘事項</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・データサイエンティスト等の研究を支援する人材の育成にも取り組むべきである。</li> </ul> <p>【対応状況】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・革新的がん医療実用化研究事業の令和元年度一次公募では、支持・緩和医療の開発に関する研究への応募に対して、臨床試験プロトコルの作成に生物統計家の関与を求めることを募集要項に明記した。さらに、令和2年度の一次公募においては、評価委員に生物統計の専門家を新たに3名追加し、データサイエンスに係る評価の一層の質向上に努めた。</li> </ul> <p>■指摘事項</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・ライフサイエンスにかかるデータベースに関して、重複なく必要不可欠な項目のフォーマットの統一化・標準化について、国際的なデータ連結を視野に入れた速やかな検討が求められる。</li> </ul> <p>【対応状況】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・戦略推進部がん研究課では平成28年度以来、国際がんゲノムコンソーシアム ICGC (International Cancer Genome Consortium) の年次総会に課員を派遣して、がんゲノムデータベース構築の国際動向について情報収集に当たるとともに、平成29年度からは革新的がん医療実用化研究事業で支援する研究開発課題を通じて ICGC の主要メンバーとして参画してきた。平成30年度より開始した次期プロジェクト ICGC-ARGO にも令和元年4月に参加を表明し、国際的に統一化されたフォーマットのもと、臨床情報の紐付いたがんゲノム情報の登録・共有を開始している。革新的がん医療実用化研究事業では、令和2年度一次公募において国際コンソーシアムへの参画を通じて国際的なデータフォーマットの標準化に寄与することをテーマとした公募枠を設定し、国際的なデータ連結を視野に入れたフォーマットの統一化・標準化への対応に努めた。</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2019（令和元年6月20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2019（令和元年6月20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0040、文部科学省0244、厚生労働省899-7）

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	平成27年度	平成28年度	平成29年度	平成30年度	令和元年度		平成27年度	平成28年度	平成29年度	平成30年度	令和元年度
応募件数		205件	200件	30件	211件	131件	予算額（千円）	8,287,920	8,140,896	7,816,250	10,345,076	8,798,908
採択件数		76件	52件	12件	61件	16件	決算額（千円）	8,264,890	7,997,910	7,808,176	10,271,750	8,506,368
シンポジウム等の開催件数		3件	1件	2件	1件	1件	経常費用（千円）	8,258,803	8,086,831	7,839,045	10,327,013	8,508,842
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	66件	経常利益（千円）	0	0	13	0	0
PS/PO会議実施回数		1件	11件	12件	15件	8件	行政サービス実施コスト（千円）※令和元年度は、行政コスト（千円）	8,258,803	7,998,239	7,809,353	10,273,034	8,526,982
							従事人員数	8人	6人	10人	13人	15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	
				主な業務実績等	自己評価 主務大臣による評価

							評価	
<p>認知症やうつ病などの精神・神経疾患等の発症に関わる脳神経回路・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>認知症やうつ病などの精神・神経疾患等の発症に関わる脳神経回路・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。</p> <p>本領域に関わる疾患の発症や進行速度、臨床経過の特</p>	<p>認知症やうつ病などの精神・神経疾患等の発症に関わる脳神経回路・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整備を行うとともに、疾患の臨床情報等</p>	<p>&lt;評価軸&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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。</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>■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>・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、コモンマーズセットを活用してその全容を明らかにすることを目的に事業を推進した。</li> <li>・令和元年度は中間評価を行い、革新脳後半5年にむけた2次公募を実施し、新たに2課題を採択した。</li> <li>・令和元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>- 超高感度カルシウムセンサーを開発し、生きたマウス脳の神経活動・シナプス活動ダイナミクスを多細胞種で同時に計測することに成功した。</li> <li>- 光遺伝学の技術によってマーズセットの運動野機能を非侵襲的にマッピングするための方法を開発し、異なった方向への腕の動きが運動野の中の別々の領域で表現されている事を明らかにした。</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)において、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することを目的に事業を推進した。</li> <li>・令和元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>➢ 最新の神経画像法や神経解剖の知見を分析し、ヒト、マカクサル、マーズセット、マウスの皮質の脳回や分画、連絡性について多種の動物間でどのように変化し、ヒト脳が進化しているかその視点を明らかにした。</li> </ul> </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)の中間評価を行い、革新脳後半5年にむけた2次公募を実施し、新</li> </ul>	<p>&lt;評価に至った理由&gt;</p> <p>評価：A</p> <p>PDPSP0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、企業と密に意見交換し事業運営方針や事業間連携の加速を図ったことで、①精神・神経分野のライフステージにわたる研究を行い、健康診断でパーキンソン病・認知症のリスク評価、脳情報動態を多色化記録する超高感度カルシウムセンサーの開発、AMPA受容体PET薬剤を用いた疾患横断的診断法の医師主導治験、ひきこもり者支援の国際評価基準の開発等、成果を挙げた。②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、連携強化を図った。③IBIやWorld Wide FINGERS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などの国際連携、若手をターゲットとした公募の実施、若手研究者交流会等の交流・人材育成を図った。以上より、「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>■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</li> </ul>	評価		

	<p>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>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>		<p>たに2課題を採択した。</p> <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> <li>・令和元年度に得られた主な成果は以下の通りである。</li> </ul> <p>▶ 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）の整備をさらに促進した。</p> <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＞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＞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>・＜認知症研究開発事業における取組＞認知症レジストリ・コホートの連携・共有化を目指して、委託調査や課題管理を実施した。また、認知症関連コホート、AMED シンポジウム等で特に被験者リクルート、アウトリーチについて情報共有に務めた。</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>・＜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＞認知症を中心としたモデル動物研究等に関する革新脳の前半5年間で踏まえて実施体制等を大幅に見直し、一部の研究課題終了にあわせて公募を行い、後半5年間の研究を開始。効率的な実施体制等に向けてPS、POと密に議論し、中核拠点を見直し、非ヒト霊長類神経変性疾患モデル研究等の新規課題公募・採択を行い、研究開発を推進して</li> </ul>	<p>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。</p> <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>・国際脳事業を推進しヒトとその他の霊長類の種間比較できるような技術開発について成果を挙げたことは評価できる。</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、前年度に行った研究体制の見直しを今年度に着実に実施したことは評価できる。</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>■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</p>	
--	--	--	--	---	--	--

				<p>いる。</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における取組＞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。データシェアに向けて MRI 脳画像データ取得のためのハーモナイゼーションプロトコルを策定し、本格的な撮像を開始した。</li> <li>・＜認知症研究開発事業における取組＞認知症前臨床期の人を対象とした治験即応型コホートを立ち上げ、オンライン上で募集する国内最大規模のプロジェクトを開始した。認知症及び精神・神経疾患レジストリ・コホートの連携・共有化を目指して、連携の全国展開の推進等を図った。</li> </ul>	<p>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> <ul style="list-style-type: none"> <li>・治験即応型コホートを立ち上げ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。</p> <p>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</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組、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</p>	<p>＜評価軸＞</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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。</li> </ul> <p>＜モニタリング指標＞</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>■脳画像を用いた解析やヒトと霊長類の種間比較（取組の詳細は、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の項を参照）</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）において、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及び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を目的に事業を推進した。</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を目指し、研究開発を推進した。</li> <li>・令和元年度に得られた主な成果は以下の通りである。</li> </ul> <p>➤ ヒトに近い霊長類脳をモデルに、自己が受ける報酬を他者と比較し主観的価値観を生成するメカニズムを発見し、報酬期待やモチベーションなどの意思決定・行動選択における脳機能原理の一端を解明した。</p>	<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>資源を戦略的に活用し、精神・神経疾患治療の実用化に貢献するとともに、認知症などのコホート研究と臨床研究の連携を促進させる。身体機能障害の代替・回復やリハビリテーションに資する新しい開発研究を推進し、医療現場での効果的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>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</p>	<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</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組&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・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推進した。</li> <li>・令和元年度に得られた主な成果は以下の通りである。</li> </ul> <p>➤ 全脳データからうつ病の中核群とされるメラニコリア特徴を伴ううつ病に特異的な安静時脳機能結合を抽出し AI を用いて高い精度で判別できること、また、抗うつ薬治療により変化が見られない脳機能結合が存在することを明らかにした。</p> <p>■病態モデル動物の開発と創薬への応用</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・革新脳では、遺伝子改変技術を用いた神経変性疾患モデルマウスセットの作出と繁殖、発生工学的な技術開発による作出と繁殖の効率化を推進した。また、認知症を中心とした複数の神経変性疾患モデルマウスセットの作出にも成功し、革新脳をはじめとする多くの研究者への普及のための生産・繁殖技術の研究を実施し、創薬への応用を目指している。</li> </ul> <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組&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、研究開発を進めている。</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</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>・国際脳事業において疾患の進行を捉えられる研究体制を構築し着実に推進したことは評価できる。</li> </ul> <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> <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>	
--	---	---	---	---	--

		<p>による全国展開の推進、臨床検体の基礎研究での利用の推進等を図ることにより、認知症研究の活性化を図る。精神疾患においては客観的診断法の開発、診断・治療法の標準化等を推進する。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研究開発も引き続き推進し、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。具体的には、米国 NSF や英国 MRC 等との連携により脳科学や認知症についてシンポジウム等情報交換を行っていく。</p>	<p>(Mild Cognitive Impairment)、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・前臨床期 9,886 名(令和2年1月現在)、MCI 1,503 名(令和元年11月時点)の登録が進んだ。さらに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。</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</p> <p>&lt;認知症研究開発事業における取組&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・神経症状を有しないハイリスク者を通常診療で同定することは極めて困難だが、健康診断制度を活用したレジストリを活用し、レビー小体病の前駆症状に関する質問紙調査による簡便な調査でハイリスク者の抽出が可能であることを示した。</li> <li>・神経過興奮とタウ放出・伝播の悪循環を標的とする認知症の病態解明と治療法開発を推進。</li> </ul> <p>&lt;脳科学研究戦略推進プログラムにおける取組&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>・令和元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>- オキシトシンの投与で、自閉スペクトラム症の方の表情の変動の乏しさが改善することが再現性を持って検証された。さらにこの改善効果は時間と共に変化することから、自閉スペクトラム症治療の最適化が進んだ。</li> <li>- ベタイン(トリメチルグリシン)合成酵素遺伝子欠損マウスが抑うつ傾向および統合失調症患者脳に類似した遺伝子発現パターンを示し、ベタインが抗酸化ストレス作用を介して統合失調症モデルマウスに治療効果を示すことから新しい治療薬候補になり得ることが示された。</li> <li>- 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。</li> <li>- インスリン抵抗性が、アルツハイマー病の病因タンパク質「Aβ」の脳内の除去速度低下による蓄積増加を引き起こすこと、その作用は食事制限で可逆的に改善されることを明らかにした。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。</li> <li>- 統合失調症患者由来 iPS 細胞を用いた解析により、カルボニルストレ</li> </ul> </li> </ul>	<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>・神経症状を有しないハイリスク者を通常診療で同定することは極めて困難だが、健康診断制度を活用したレジストリを活用し、レビー小体病の前駆症状に関する質問紙調査による簡便な調査でハイリスク者の抽出が可能であることを示したことは評価できる。</li> </ul>	
--	--	--	---	---	--