

1. 当事務及び事業に関する基本情報			
I—(2)—②	(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 ②医療機器開発		
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 899-2、経済産業省 0030・0046・0049）

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		325 件	371 件	306 件	304 件	330 件	予算額（千円）	14,513,718	14,291,517	13,796,156	12,453,685	11,805,167
採択件数		39 件	106 件	63 件	58 件	74 件	決算額（千円）	13,460,667	13,792,740	12,899,432	11,256,115	11,350,898
シンポジウム等の開催件数		0 件	9 件	5 件	8 件	4 件	経常費用（千円）	13,187,672	13,488,742	13,632,747	12,094,295	12,218,170
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		209 件	177 件	436 件	626 件	354 件	経常利益（千円）	0	1,405	-21	0	0
PS/P0 会議実施回数		4 件	8 件	44 件	62 件	38 件	行政サービス実施コスト（千円）	12,988,431	13,168,601	12,806,952	11,433,002	12,244,315
革新的医療機器の実用化(2020 年頃まで)	5 種類以上(累積)	9 種類(開発中)	11 種類(開発中)	11 種類(開発中)	11 種類(開発中)	1 件が欧州 CE マークを取得。4 件が製品開発フェーズを完了。13 件の医師主導治験を開始。	従事人員数	23 人	27 人	27 人	23 人	31 人
医工連携による医療機器開発件数	100 件(累積)	7 件	12 件	65 件	79 件	81 件						

(2020 年頃 まで)													
医療機器の 実用化によ る成果 (2020 年頃 まで)	約 1,500 億円/年	25.4 億円	33.2 億円	43.0 億円	71.1 億円	98.2 億円							

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

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

3. 中長期目標、中長期計画、年度計画、主な評価軸、業務実績等、年度評価に係る自己評価及び主務大臣による評価

中長期目標	中長期計画	主な評価軸（評価の視点）、 指標等	法人の主な実績等・自己評価		主務大臣による評価			
			主な業務実績等	自己評価	（見込評価）		（期間実績評価）	
					評価	B	評価	
<p>我が国発の優れた医療機器について、医療ニーズを確実に踏まえて、日本の強みとなるものづくり技術も生かしながら、開発・実用化を推進し、研究開発から実用化につなげる体制整備を進める。</p> <p>具体的には、推進計画において設定された成果目標（医療機器の輸出額を倍増、国内医療機器市場規模の拡大等）の実現に向け、医工連携による医療機器開発を促進する。</p>	<p>我が国発の優れた医療機器について、医療ニーズを確実に踏まえて、日本の強みとなるものづくり技術も生かしながら、開発・実用化を推進し、研究開発から実用化につなげる体制整備を進める。</p> <p>大学等研究機関や関連する学会が保有する先端計測技術等の技術シーズを確実に実用化につなげる。ロボット技術、IT等を応用して日本発の国際競争力の高い医療機器・システムの開発や、介護従事者の負担軽減及び高齢者の自立支援に資する、実際に現場で使え</p>	<p><評価軸></p> <ul style="list-style-type: none"> ・医工連携による医療機器開発を促進したか。 <p><モニタリング指標></p> <ul style="list-style-type: none"> ・左記の評価軸に係る取組状況 	<p>■医療現場のニーズに基づき医療機器開発を推進・強化する体制の構築</p> <ul style="list-style-type: none"> ・臨床ニーズ収集において、具体的な医療機器開発につなげていくためのそれらニーズ情報の整理・評価体制や方法論について、外部の有識者を踏まえた検討を行った。また、それらの情報の利活用について、当事者間（医療現場と企業）での交流を円滑化するとともに、国として研究開発を推進すべき課題を精査し、プロジェクトの公募につなげた。 ・医療機器研究課実施事業において、医工連携による医療機器開発を実施しており、累計課題数 382 件に達した。 ・「国産医療機器創出促進基盤整備等事業」では、臨床拠点を活用して臨床ニーズを機構に集約するとともに、機構職員が自ら現場に出向いてニーズを収集する体制を強化した。臨床拠点から収集した革新的な医療機器開発につながるニーズについては、機構に設置する「臨床ニーズ抽出委員会」での検討・精査を行い、その結果を未来医療における新たな機構公募・事業等の設計に用いた。また、令和元年度より次世代医療機器連携拠点整備等事業として新たに 14 医療機関を採択し、医療ニーズ発見及び研修プログラムや拠点間連携を通じて、医 	<p><評価と根拠></p> <p>評価：B</p> <p>全体的な取組としては、医療機器開発のあり方の検討や、重点分野を設定。課題と課題解決に向けた方向性を整理し、公開した。革新的医療機器の開発支援と普及については、「先端計測事業」では 65 件を推進、「未来医療機器・システム開発事業」において、34 テーマを通じて革新的医療機器・システムの開発及び実用化を推進。「医療機器開発推進研究事業」で医師主導治験を 8 件実施。また、「ロボット介護事業」では、開発補助（67 件）のみならず、環境整備を行った。「医療機器開発支援ネットワーク」で伴走コンサルを 776 件実施して開発から事業化まで幅広く支援。「医工連携事業化推進事業」で 176 件推進してものづくり技術を有する中堅・中小企業を支援。「途上国事業」において、日本企業の、現地ニーズに応じた機器開発を 5 件実施。臨床ニーズへの対応については 291 件のニーズを収集し、9 課題を実施。医療機器開発人材育成についても、14 医療機関で企業人材の育成を実施した。KPI の達成に向けて、様々な取組を検討し、着実な業務運</p>	<p><評価に至った理由></p> <ul style="list-style-type: none"> ・中長期目標・計画の実施状況については、医工連携による医療機器開発等を着実に推進しており、「研究開発成果の最大化」に向けて成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められ、着実な業務運営がなされているため、評価を B とする。 			

	<p>るロボット介護機器等の開発を進める。具体的には、医療の安全性等の向上を目的として、①ロボット・IT技術を活用した医療機器、②低侵襲・高精度な診療を実現する医療機器、③身体組織・機能の回復技術、の開発・実用化を進める。これらと並行して、PMDA等の各種公的機関と連携し、技術評価・支援、経営・事業化、販路開拓等の様々な段階で関係する機関に適切な支援を行う。また、医療機器の開発拠点となる病院等（臨床拠点）を活用したユーザー評価等の支援や安全性評価等に関する助言及び薬事申請に係る情報提供や、医療機器等の開発に資する開発ガイドラインの策定等を行う。</p>		<p>療機器開発の人材育成としての拠点整備を開始した。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・より客観性の高い臨床ニーズに基づく医療機器の開発を強化するため、4つの学会（日本内視鏡外科学会、日本脳神経外科学会、日本コンピュータ外科学会、日本整形外科学会）を対象として臨床ニーズ収集体制を構築した。これらも含め、291件の臨床ニーズを収集した。 ・収集した291件のニーズから絞り込みを行った2件のニーズ（「術中の迅速な判断・決定を支援するための診断支援機器・システム」、および、「術者の技能に依存しない高度かつ精密な手術システム」）について、「未来医療を実現する医療機器・システム研究開発事業」において、それぞれ5件、4件の課題を実施した。 ・また、ポータルサイトMEDICにおいて、医療従事者より医療機器に関する臨床現場のニーズを収集し、これを開発企業に橋渡しすることを目的に「医療機器アイデアボックス」を開設し、運営した。アイデアボックスで収集した311件のニーズについて、参考情報を付した上で、ニーズに応じた専門性を有する医療従事者（専門家）グループを組成してニーズの普遍性・重要性・将来性について4段階で評価した。評価結果をニーズ提供者にフィードバックするとともに、165件の有望ニーズを医療機器アイデアボックスにて公開した。また公開されたニーズに対するコーディネーターおよび医療機器開発事業者等からの問い合わせ対応を行った（令和2年2月29日時点で合計100件）。 ・「医療機器開発のあり方に関する検討委員会」を平成29年12月に設置し、社会ニーズや医療の方向性からバックキャスト的に整理した「医療機器開発の注目領域」と、中長期的な観点で「AMEDにおける医療機器開発支援の方向性」について検討を行い、平成30年3月に取りまとめ公表した。さ 	<p>営が見込まれる。</p> <p>【医療現場のニーズに基づく医療機器開発を推進・強化する体制の構築】</p> <ul style="list-style-type: none"> ・臨床ニーズの収集とその利活用について、推進すべき課題を精査し、医師の暗黙知の活用という臨床価値の高いニーズに応えるため、プロジェクトを実施した。また、医療の価値（対応すべき課題）、我が国の競争力ポテンシャル、AMED支援の必要性の高い領域の視点で、医療機器開発の重点分野を設定するとともに、対応すべき課題の整理と、課題解決に向けた方向性を整理、公表するなど、具体的な取組を行ったことは評価できる。 <p>【大学等研究機関等が保有する先端計測技術等の技術シーズを実用化につなげる取組】</p> <ul style="list-style-type: none"> ・大学等が保有する革新的な技術と臨床ニーズをマッチさせた開発を行い、PSP0が特に有望な課題と判断した課題は研究加速を行い、早期実用化を促進する事業運営をしている。 <p>【様々な段階で開発する機関への支援、開発ガイドラインの作成等の取組】</p> <ul style="list-style-type: none"> ・研究開発と薬機法の承認ができる限り整合的に進められるような環境整備を行ったことは評価できる（PMDAとの連携協定に基づいて、個々の研究開発課題の進捗状況を具体的に把握してAMEDでの支援方法に反映させた。医療機器開発・実用化促進のための開発ガイドラインを着実に策定した。また、次年度の新規開発ガイドラインの策定に向け学会や有識者に幅広くアンケートを取るなど、新たな試みを行った点は評価できる。 		
--	---	--	--	--	--	--

				<p>らに、「医療機器開発の重点化に関する検討委員会」を平成 30 年 11 月に設置し、医療の価値（対応すべき課題）、我が国の競争力ポテンシャル、AMED 支援の必要性の高い領域の視点で、医療機器開発の重点分野を設定した。重点分野別に、将来のあるべき姿を検討し、実現に向けての対応すべき課題の整理と、課題解決に向けた方向性を整理した。令和元年 3 月に取りまとめ、公表した。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・検討内容は、令和元年度から「先進的医療機器・システム等技術開発事業」等の医療機器開発支援事業の計画立案に活用した。 <p>■大学等研究機関等が保有する先端計測技術等の技術シーズを実用化につなげる取組</p> <ul style="list-style-type: none"> ・「先端計測分析技術・機器開発プログラム」では平成 27～令和元年度に 74 課題を推進した。また、サイトビジット・伴走コンサル・AMED を交えてのチーム会議を平成 27～31 年度に合計 574 回以上実施した。これは基礎研究フェーズにある課題の方向性を間違わないように、ゴール（上がりの姿）をチームの代表者、分担社、担当者と共有化した上で、逆算して「今、やらなければならないこと」を確認しながら進めるためである。具体的には、伴走コンサルへの相談（頭の体操）、医療機器センターへの相談、厚労省経済課への相談、課題進捗が進んだチームには PMDA への相談を行った。その結果、3 チームが医工連携事業化推進事業（内、1 チームは 2 年の早期卒業）、1 チームが先進的医療機器に申請する予定である。また、3 課題において、日本医療研究開発大賞・AMED 理事長賞を受賞するに至った（次世代乳がん画像診断機器の開発、心筋梗塞時の迷走神経刺激カテーテル装置の開発、針なし気泡注射器を用いた低侵襲網膜血栓除去新技術の開発）。針なし気泡注射器は、網膜静脈分枝閉塞症に対して、網膜静脈血栓部へ電界誘起気泡による 			
--	--	--	--	---	--	--	--

				<p>低侵襲物理的刺激を血管（血栓）へ与えることにより血流を回復・改善させる技術であり、対症療法ではなく、根本的に病態を解決する新手法として期待される。</p> <ul style="list-style-type: none"> • 大学等の技術シーズを確実に実用化につなげるため、「先端計測分析技術・機器開発プログラム」（要素技術開発タイプ）については、外部有識者による評価を経て、機器開発並みの費用で実施する仕組みを導入し、実用化への更なる加速支援が必要と考えられる有望な1課題について課題評価委員会による機器開発への導入を実施した。その結果、医療機器の実用化開発を行うものと判断された「北大松元チーム、低磁場核偏極による生体分子の超高感度センシング技術の開発」について実施を認めた。 • 「医療機器開発支援ネットワーク」活動の一環として、企業自身が医療従事者と直接的なコネクションをもたなくても、企業等に代わって、当該製品の想定ユーザーである医療従事者等に対して製品の有効性や提供価値の妥当性、使い勝手（ユーザビリティ）、購入意思等の観点から意見を収集し、より医療現場のニーズに訴求する製品の開発をサポートすることを目的に「製品評価サービス」を提供した。平成28年度に作成した「製品評価サービス実施マニュアル（企業向け、支援機関向け、医療機関向け）」を用いて、34の協力医療機関（大学病院、市中病院等）から製品評価サービス利用企業のニーズに合致した医療従事者（医師、看護師等）に評価の依頼を行った。企業から32件の相談を受け、15件の試行を含めると34件の評価を実施した。また、全国のセミナー・会議等のイベントにて、医療機器開発事業者・地域支援機関等に対して、製品評価サービスの周知を図った。 • 「未来医療を実現する医療機器・システム研究開発事業」の一環として、「ロボット・IT技術を活用した医療機器」、「低侵襲・高精度な診療を実現する医療機器」、「身体 			
--	--	--	--	---	--	--	--

				<p>組織・機能の回復技術」等において、開発・実用化を進めた。平成 27～30 年度に実施した、革新的医療機器開発の 11 種類のテーマは下記に示すとおり。</p> <p>① 医療情報の高度利用： がん診断・治療ナビゲーションシステムの研究開発/再生医療製品の有効性予測支援システムの研究開発</p> <p>② 先端医療機器： システムの研究開発・高い安全性と更なる低侵襲化及び高難度治療を可能にする軟性内視鏡手術システムの研究開発/麻痺した運動や知覚の機能を回復する医療機器・システムの研究開発/安全性と医療効率の向上を両立するスマート治療室の開発</p> <p>③ 立体機能造形(再生医療等製品)： 高機能足場素材とバイオ 3D プリンタを用いた再生組織・臓器の製造技術の開発/バイオ 3D プリンタで造形した小口径 Scaffold free 細胞人工血管の臨床開発/組織工学を用いたヒト心臓壁立体造形技術の開発/細胞シート工学を基盤とした革新的立体臓器製造技術の開発/革新的な三次元精密細胞配置法による立体造形と小口径血管を有するバイオハートの研究開発</p> <p>④ 低侵襲がん診断： 磁気ナノ粒子によるセンチネルリンパ節の特定とがん転移の迅速診断法の開発/生体多光子励起イメージング技術を利用した新規低侵襲・高解像度がん診断装置の開発</p> <p>⑤ 低侵襲がん治療： 微粒子腫瘍マーカとリアルタイム 3 次元透視を融合した次世代高精度粒子線治療技術の開発/4 次元腫瘍認識誘導型至適放射線治療システムの研究開発</p> <p>⑥ ICT： ウェアラブルモニターで実現する循環器診断支援技術の開発/表情・音声・日常生活活動の定量化から精神症状の客観的評価をリアルタイムで届けるデバイスの開発/注視点検出技術を活用した発</p>			
--	--	--	--	---	--	--	--

				<p>達障がい診断システムの開発</p> <p>⑦ 認知症対策（予測、診断技術等）： 認知症発症予測・予防介入・徘徊検知支援技術の開発と実用化を目指す研究/QSM と VBM のハイブリッド撮像・解析による認知症の早期診断 MRI</p> <p>⑧ 救急現場の革新技術： 急性期 IoT リストバンド型ウェアラブルデバイス・クラウドスマホアプリシステム医療機器開発研究/早く正しい救急医療実現のためのスマートな患者情報収集・処理・共有システムの開発</p> <p>⑨ 精密手術システム： 肝切除シミュレーションに触覚センシングと位置モニタリング可能な医療用ワイヤレスマイクロセンサシステムを合体したリアルタイムナビゲーションシステムの開発/熟練微細手技を人工再現する μ m 超精密手術システムの開発/直径 1mm の血管吻合を容易にする顕微鏡下手術支援ロボットシステムの研究開発/眼科硝子体手術普及のための眼内内視鏡保持ロボット開発</p> <p>⑩ 術中診断支援： 量子線手術（クオンタム・ビーム・サージェリー）と放射線照射後手術における治療術中の迅速な判断・決定を支援するための診断支援機器・システム開発/AI Surgery 実現のための基盤となる臨床情報解析装置-C. I. A. の開発/術中の迅速な呼吸異常評価のための連続呼吸音モニタリングシステムの研究開発/術前と術中をつなぐスマート手術ガイドソフトウェアの開発/指先や鉗子ならびにロボットアーム先端に装着可能な小型組織オキシメーター温度センサーの開発</p> <p>⑪ メディカルデジタルテストベッド（医療技術）： ランドマークを暗黙知する内視鏡外科医の教師データ創出と人工知能による術中教示システムの開発/内視鏡外科手術における暗黙知のデータベース構築と次世代医療機器開発への応用/病理</p>			
--	--	--	--	---	--	--	--

				<p>診断の暗黙知を“見える化”し、治療法選択のための医療機器開発に資する病理情報テストベッド構築/脳血管内治療における暗黙知の可視化とデジタル画像処理に基づいたカテーテル治療支援システムの開発</p> <ul style="list-style-type: none"> ・「医療機器開発推進研究事業」においては、革新的医療機器の医師主導治験を8件実施した。 ・実際に現場で使えるロボット介護機器等の開発を進める取組として、「ロボット介護機器開発・導入促進事業」では高齢者の自立支援、介護従事者の負担軽減の観点から、経済産業省・厚生労働省で定めた「ロボット技術の介護利用における重点分野（平成29年10月改訂）」で追加された新規1分野5項目（装着移動、排泄予測、排泄動作支援、コミュニケーション、業務支援）の介護現場のニーズに基づいたロボット介護機器の開発に向けたフィージビリティスタディ・試作開発と既存5分野8項目の介護現場のニーズに基づいたロボット介護機器の改良開発への支援を実施した。また、平成30年度からは「ロボット介護機器開発・標準化事業」として、上記の新規1分野5項目の介護現場のニーズに基づいたロボット介護機器の開発支援を実施している。平成27～令和元年度の補助金交付決定数はのべ67件。なお、これまでに研究開発を終了した計20製品が市場投入された。 <p>■様々な段階で開発する機関への支援、開発ガイドラインの作成等の取組</p> <ul style="list-style-type: none"> ・クリニカルイノベーションネットワーク推進プロジェクトの一環として、「医療機器開発推進研究事業」で「医療機器開発に活用する疾患登録システム（患者レジストリ）の研究開発」を推進。委託先（一般社団法人日本脳神経外科学会）はPMDAとの綿密な連携の下、疾患登録システムの構築 			
--	--	--	--	---	--	--	--

			<p>を進めた。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・PMDA との連携協定に基づき、実施者が対面助言を受ける際に AMED 職員の同席および面談記録の共有を受けることで、効果的な開発推進に活かした。「医工連携事業化推進事業」で 113 件、「医療機器開発推進研究事業」で 47 件の実績があった。 ・「未来医療を実現する医療機器・システム研究開発事業（平成 27～30 年度）」、「先進的医療機器・システム等技術開発事業（令和元年度）」の「医療機器等に関する開発ガイドライン（手引き）策定事業」では、厚生労働省・経済産業省・PMDA・AMED 連携による「次世代医療機器評価指標検討会／医療機器開発ガイドライン評価検討委員会合同検討会」にて、今後の合同検討会の枠組みの検討およびガイドライン策定に取り上げるテーマの選定を実施した。事務局側で広くテーマの候補を挙げると共に、各年度第一回の合同検討会において委員からの追加の提案を募り、第二回において絞り込むというプロセスで来年度のテーマ選定を進めた。延べ 26 件のガイドラインを策定し、経済産業省のホームページにて公開し、医療機器開発を行う企業の実用化を促進した。 			
<p>医療機器開発は医療現場のニーズを取り込むことが重要であることや医薬品医療機器等法対応等において課題があるため、各省・専門支援機関（国立研究開発法人産業技術総合研究所、公益財団</p>	<p>また、開発初期段階から事業化に至るまでの切れ目ないワンストップ支援（「伴走コンサル」）を行う「医療機器開発支援ネットワーク」を運営する。具体的には、大学や医療機関、科学技術振興機構</p>	<p><評価軸></p> <ul style="list-style-type: none"> ・複数の専門支援機関と大学病院、研究機関の連携による開発支援体制（医療機器開発支援ネットワーク）を強化し、その中核的役割を果たす医工連携並びに産学連携のハブとして機能を整備したか。 <p><モニタリング指標></p> <ul style="list-style-type: none"> ・左記の評価軸に係る取組状況 	<p>■医療機器市場獲得、海外展開に向けた企業支援</p> <ul style="list-style-type: none"> ・高度なものづくり技術を有する中堅・中小企業の支援を推進するため、「医工連携事業化推進事業」において、69 件の課題を新規採択し、既存課題と合わせて 97 件の課題に対し支援を実施（平成 27～30 年度は 167 件）した。 ・「開発途上国・新興国等における医療技術等の実用化研究事業」において、開発初期段階プロジェクトとして 6 件、及び開発後期 	<p>【「医療機器開発支援ネットワーク」の運営】</p> <ul style="list-style-type: none"> ・医療現場のニーズに訴求する製品の開発をサポートすることを目的とした「製品評価サービス」を提供し、企業からの相談を受け、評価を実施したこと、また、全国のセミナー・会議等のイベントにて、医療機器開発事業者・地域支援機関等に対して、製品評価サービスの周知を図ったことは評価できる。また、「医療機器開発支 		

<p>法人医療機器センター等)・地域支援機関・医療機関・学会等の連携による開発支援体制(医療機器開発支援ネットワーク)を強化し、その中核的役割を果たす医工連携並びに産学連携のハブとして機能を整備するとともに、</p>	<p>及び学会等を通じた、共同開発、技術シーズ活用及び実用化への橋渡しを実施し、産業技術総合研究所や中小企業基盤整備機構、公益財団法人医療機器センター、メディカルエッセレンスジャパン及び日本貿易振興機構等による、技術評価、経営相談及び販路開拓の支援を実施する。また、医療機器開発に係る臨床拠点等をはじめとする臨床機関や、薬事関連法制への対応にかかわる専門機関(国立医薬品食品衛生研究所、PMDA等)を通じた医療機器の開発・実用化促進を実施する。</p> <p>更に、全国の地域支援機関、伴走コンサルタント、専門支援機関間の交流を通じた情報共有・発信を図り、各地域における支援機関の底上げとネットワークを通じた支援機能の強化を行う。</p>		<p>段階プロジェクトとして1件を採択し、タイ(開発初期4件)、インドネシア(開発初期1件)及びベトナム(開発初期1件、開発後期1件)を対象国として、デザインアプローチを用いて、現地ニーズを踏まえた医療機器等を開発した。</p> <ul style="list-style-type: none"> 平成27年度に開発した、医療機器開発をサポートする「伴走コンサル」育成のための教育プログラム、第三者評価方法を活用することによって、平成28年度に引き続き伴走コンサルタンの人材育成セミナー及び第三者評価を実施した。人材育成セミナーは医療機器開発支援経験年数が2〜3年目までの方や今後コンサルタントとしての活動を予定している方を対象に実施し、東京と大阪の2箇所計79名が受講した。第三者評価は人材育成セミナー受講者から希望者を募り、OJTプログラムとして伴走コンサルティング及び第三者評価への参加を案内する方法をとった。計5回のOJTプログラムに、新任のコンサルタント5名(延べ9名)が参加し、第三者評価を受けた。第三者評価の方法としては、外部から評価者を招き、対面でのコンサルタントへのフィードバックを行う形態を採用した。 「医工連携事業化推進事業」の一環として運営する「医療機器開発支援ネットワーク」への相談件数は、のべ1,690件(うち、令和元年度は150件)、うち伴走コンサル件数はのべ776件(うち、令和元年度は135件)にのぼった。地域別にみると、関東・近畿が多いものの、他地域でも徐々に増加傾向となっている。 「医療機器開発支援ネットワーク」における相談対応、製品評価サービスの地域での対応可能性を検討するため平成30年度に地域拠点実施可能性調査を行い、一般財団法人ふくしま医療機器産業推進機構、関西医療機器産業支援ネットワーク(事務局大阪商工会議所)、一般財団法人九州産業 	<p>援ネットワーク」の運営は軌道に乗りにつつあり、相談件数が増加していること、地方における取組の裾野を広げるべく、それらを一律に底上げするのか、状況に応じたメリハリをつけるのかについて検討したことは評価できる。</p>		
--	---	--	--	--	--	--

				<p>技術センター、国立大学法人浜松医科大学の4拠点を選定し試行調査を実施した。</p> <ul style="list-style-type: none"> 同ネットワークにおいては平成28年度に引き続き、医療機器開発に係る施策や規制、開発支援事業等について新規参入事業者でも分かるようにまとめた「医療機器開発ハンドブック」を作成し、ホームページで公開するとともに、無料冊子としてイベント、展示会等で広く配付した。 「全国医療機器開発会議」を5回開催し、地域支援機関や医療機器開発事業者を対象に、関係省庁及び専門支援機関の支援施策や医工連携事業化推進事業の成果について説明した。同会議には全国からのべ929名が参加し、地域間の情報共有、連携促進を図った。 ポータルサイトMEDICにおいて、医療従事者より医療機器に関する臨床現場のニーズを収集し、これを開発企業に橋渡しすることを目的に開設した「医療機器アイデアボックス」(https://www.med-device.jp/db/)を継続して運営した。アイデアボックスで収集した311件のニーズについて、参考情報を付した上で、ニーズに応じた専門性を有する医療従事者(専門家)グループを組成してニーズの普遍性・重要性・将来性について4段階で評価した。評価結果をニーズ提供者にフィードバックするとともに、165件の有望ニーズを医療機器アイデアボックスにて公開した。また公開されたニーズに対するコーディネーターおよび医療機器開発事業者等からの問い合わせ対応を行った(令和2年2月29日時点で合計100件)。 <p>(「医療現場のニーズに基づき医療機器開発を推進・強化する体制の構築」の一部再掲)</p> <ul style="list-style-type: none"> 医療機器開発支援ネットワーク活動の一環として、企業自身が医療従事者と直接的なコネクションをもたなくても、企業等に代わって、当該製品の想定ユーザーである医 			
--	--	--	--	---	--	--	--

				<p>療従事者等に対して製品の有効性や提供価値の妥当性、使い勝手（ユーザビリティ）、購入意思等の観点から意見を収集し、より医療現場のニーズに訴求する製品の開発をサポートすることを目的に「製品評価サービス」を提供した。平成 28 年度に作成した「製品評価サービス実施マニュアル（企業向け、支援機関向け、医療機関向け）」を用いて、34 の協力医療機関（大学病院、市中病院等）から製品評価サービス利用企業のニーズに合致した医療従事者（医師、看護師等）に評価の依頼を行った。企業から 32 件の相談を受け、15 件の試行を含めると 34 件の評価を実施した。また、全国のセミナー・会議等のイベントにて、医療機器開発事業者・地域支援機関等に対して、製品評価サービスの周知を図った。</p> <p>（「■先端計測技術等の技術シーズを実用化につなげる革新的医療機器の開発支援と普及の再掲）</p> <ul style="list-style-type: none"> ・「医工連携事業化推進事業」の一環として実施中の全開発課題について、それぞれ事業期間中毎年 2～3 回の伴走コンサルを行った。加えて、のべ 405 回のサイトビジットを行い、技術評価・支援、経営・事業化、販路開拓等の様々な段階で開発チームに対し適切に指導した。 ・「先端計測分析技術・機器開発プログラム」の開発課題に対し、「医工連携事業化推進事業」が実施する「医療機器開発支援ネットワーク」の活用を積極的にすすめた。17 課題が伴走コンサルを受けて事業化戦略等のアドバイスを受け、実用化に向けたソフト支援を行った。 <p>■「医療機器開発支援ネットワーク」の運営</p> <ul style="list-style-type: none"> ・「医工連携事業化推進事業」の一環として運営する「医療機器開発支援ネットワーク」への相談件数は、のべ 1,690 件（うち、令和元年度は 150 件）、うち伴走コンサル件数はのべ 776 件（うち、令和元年度は 135 			
--	--	--	--	--	--	--	--

			<p>件) にのぼった。地域別にみると、関東・近畿が多いものの、他地域でも徐々に増加傾向となっている。一方で、地方における取組状況についてはそれぞれの対応能力に応じたばらつきがあるため、それらを一律に底上げするのか、状況に応じたメリハリをつけるのかについて検討を開始した。</p> <ul style="list-style-type: none"> 同ネットワークにおいては平成 28 年度に引き続き、医療機器開発に係る施策や規制、開発支援事業等について新規参入事業者でも分かるようにまとめた「医療機器開発ハンドブック」を作成し、ホームページで公開するとともに、無料冊子としてイベント、展示会等で広く配付した。 			
<p>我が国の高い技術力を生かし、医療機器の開発・事業化を加速する。</p> <p>併せて、事業化人材・伴走コンサル人材の育成、国際標準化、知財強化を進める。</p>	<p>これらの取組を介して、我が国の高い技術力を生かすために、技術シーズの創出を担う事業を確実に運営し、その成果を、医療機器・システムの実用化を担う事業へと円滑に橋渡しをすることで、医療機器の開発・事業化を加速する。</p>	<p><評価軸></p> <ul style="list-style-type: none"> 我が国の高い技術力を生かし、医療機器の開発・事業化を加速したか。 <p><モニタリング指標></p> <ul style="list-style-type: none"> 左記の評価軸に係る取組状況等 	<p>■技術シーズの創出と医療機器・システムの実用化へつなげる研究開発</p> <ul style="list-style-type: none"> 「未来医療を実現する医療機器・システム研究開発事業」で開発中の「注視点検出技術を活用した発達障がい診断システムの開発」の成果を基にした「視線計測装置及び視線計測装置用診断プログラム (Gazefinder) による自閉スペクトラム症 (ASD) の診断能に関する多施設共同試験」を「医療機器開発推進研究事業」で採択し、実用化に向けたシームレスな支援を行った。 「医療機器開発推進研究事業」の成果を基にした「立体構造が極めて複雑な先天性心疾患患者への 3D モデル診断による術時間削減を実現する、オーダーメイド型超軟質 3D 精密心臓モデルの開発・事業化」及び「在宅医療における新規口腔プラーク除去装置の開発・事業化」を「医工連携事業化推進事業」で採択し、事業化を加速させた。 産学連携部の PD・PS・PO 会議を毎年度実施し、医療機器開発のプロジェクトマネジメントの改善や医療機器開発のあり方について意見交換を行った。 産学連携部が実施する医療機器開発関連事 	<p>【技術シーズの創出と医療機器・システムの実用化へつなげる研究開発】</p> <ul style="list-style-type: none"> 開発フローにおける上流を支援する事業において創出された「技術シーズ」を次の段階を支援する事業につなげて、さらに課題採択に至った事例は、切れ目のない支援が着実に具体化しつつあるものであり評価できる。 		

				業の紹介パンフレットを改訂作成し、各事業の目的、支援対象、支援後の展開例を具体的に示した。作成したパンフレットは各事業の公募説明会で配付し、提案内容に合致した事業の活用を促した。(I-1-1-1の再掲)			
併せて、事業化人材・伴走コンサル人材の育成、国際標準化、知財強化を進める。	産業技術の将来を担う創造性豊かな技術者、研究者を機構の技術開発プロジェクトや公的研究機関等の最先端の研究現場において技術開発等に携わらせること、及び大学等の研究者への支援をすることにより事業化人材・伴走コンサル人材を育成するとともに、国際標準化、知財強化を進める。	<p><評価軸></p> <ul style="list-style-type: none"> ・事業化人材・伴走コンサル人材の育成、国際標準化、知財強化を進めたか。 <p><モニタリング指標></p> <ul style="list-style-type: none"> ・左記の評価軸に係る取組状況等 	<p>■研究開発人材の育成</p> <ul style="list-style-type: none"> ・「国産医療機器創出促進基盤整備等事業」の一環として、医療機器開発を担う企業の技術者、研究者を対象に、11の臨床拠点におけるニーズ発見および研修プログラムを実施した。(H26~H30) ・令和元年度より新たに「次世代医療機器連携拠点整備等事業」では、拠点における環境やこれまでの取組などの特色を活かした14の医療機関が採択され、独自性のある拠点整備を開始した。 <ul style="list-style-type: none"> ▶ 参加人数：(延べ) 6,371人 ▶ 参加企業数：(延べ) 3,477社 ▶ 臨床現場等見学者数：(延べ) 5,391人 ▶ 臨床現場等見学参加企業数：(延べ) 2,499社 <p>■医療機器開発人材の育成</p> <ul style="list-style-type: none"> ・同上 	<p>【研究開発人材の育成】</p> <ul style="list-style-type: none"> ・シンポジウム等による啓蒙普及に留まらず、研修プログラムの実施等の一定のルールに基づいた医療機器開発を目指す企業人材による臨床現場の見学機会増大のための取組が、国産医療機器創出拠点(大学病院等)において実施されるようになり、更に本年度から開始された次世代医療機器連携拠点整備等事業において採択された14の医療機関でも各拠点の特色を生かした人材育成の拠点整備が開始されたことは評価できる。 			
これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、	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><評価指標></p> <p>【2020年までの達成目標】</p> <ul style="list-style-type: none"> ・実用化に至った革新的医療機器の種類数 ・医工連携による医療機器開発件数 ・医療機器の実用化による成果 ・医療機器開発・実用化促進のためのガイドラインの策定数 <p><モニタリング指標></p> <ul style="list-style-type: none"> ・応募件数及び採択件数 ・事業に参画している研究者延べ人数 	<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"> ・5種類以上の革新的医療機器の実用化 ・医工連携による医療機器開発件数 100件 ・医療機器の実用化による成果 約1,500億円 <p>・実用化に至った革新的医療機器の種類数：「未来医療を実現する医療機器・システム研究開発事業」の成果として、1件が欧州CEマークを取得。また、4件が製品開発フェーズを完了し、これらの実用化が見込まれる。また、「医療機器開発推進研究事業」において、令和元年度までに13件の医師主導治験を開</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、						

		<ul style="list-style-type: none"> ・PMDA への薬事戦略相談を行った研究開発課題数 ・機動的な研究推進のため年度内に契約変更を実施した課題数 	<p>始したことなどにより、実用化が見込まれる。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・医工連携による医療機器開発件数： 令和2年3月末現在で医療機器として薬事認証・承認を得たと確認出来た件数は、81件。医療機器研究課実施事業において、医工連携による医療機器開発を実施しており、累計課題数382件に達した。特に医工連携事業化推進事業においては、令和元年度以前の終了案件163件について、医療機器として薬事認証・承認を得たと確認できる件数は、国内66製品、海外15製品の計81製品。令和2年3月末までに国内53製品、海外13製品の計66製品が上市。 ・医療機器の実用化による成果： 医工連携事業化推進事業において、令和元年度以前の終了案件163件について、令和2年3月末時点の累計売上額は、98.2億円。 ・医療機器開発・実用化促進のためのガイドラインの策定数：26本（平成27～令和元年度） ・応募件数及び採択件数：330件及び74件（令和元年度） ・事業に参画している研究者延べ人数：663人（令和元年度） ・PMDAへの薬事戦略相談を行った研究開発課題数：33件（令和元年度） ・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：68件（令和元年度） 			
--	--	---	--	--	--	--

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)—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）

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

中長期目標	中長期計画	主な評価軸（評価の視点）、指標等	法人の主な実績等・自己評価		主務大臣による評価			
			主な業務実績等	自己評価	（見込評価）		（期間実績評価）	
					評価	A	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><評価軸></p> <ul style="list-style-type: none"> 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。 <p><モニタリング指標></p> <ul style="list-style-type: none"> 左記の評価軸に係る取組状況 	<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"> 各拠点や病院の一体的な運営を推進するために文部科学省及び厚生労働省と協力しつつ機構が中心となって、PD・PS・PO会議を開催し、今年度の本プロジェクトの実施内容及びスケジュール等について共有し、今後の運営方針等を確認、議論した。 年1～2回、PD・PS・PO、文部科学省、厚生労働省及び革新的医療技術創出拠点とともに全体会議を実施し、現在の各拠点の支援するシーズの開発進捗状況と今後の方向性、拠点の自立化やネットワーク化に向けた取組、サイトビジットの重点方針等について拠点間で共有した。 革新的医療技術創出拠点に対して拠点外シーズへの積極的支援を義務づけ、更に各拠点の特色化も推進することにより、広域連合・分散統合を推進した。 平成27年6月～8月にかけて平成26年度サイトビジットでの指摘事項に対するフォローアップ調査を計7施設に対し行い、指摘事項に対する各拠点の取組状況をヒアリングするとともにPD(PS)、PO、文部科学省、厚生労働省及びサポート機関と連携してアドバイスを行った。 毎年9月～12月にかけて全拠点に対しサイトビジットを行い、研究成果の実用化のための体制構築について各拠点の取組状況をヒアリングするとともに、PD・PS・PO及びサポート機関と連携の上、拠点のARO機能等の体制整備状況について適切なアドバイスを行った。各拠点の成果の把握の方法や指導助言については、体制整備にあたりポイントとなる点を、拠点の意見も踏まえサイトビジットで議論し、適宜反映した。 <p>平成28年度には、前年度のサイトビジットでの指摘事項に対する対応状況についてもヒアリングした。平成28年度のサイトビジットでは、支援中止となったシーズについても説明してもらうこととしたため、拠点における支援継続又は支援中止の判断について</p>	<p><評価と根拠></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、拠点以外の研究機関との連携を促進し、拠点外シーズ支援体制としての連携ネットワークの構築を図り、拠点外シーズ数に取組んだ結果、拠点外シーズ数は急増した。さらに、拠点を中心に、アカデミア発シーズを実用化につなぐ体制を充実させるための人材育成の研修・講習会の開催、臨床研究倫理審査の効率化・質の均一化効率化を推進する取組を実施した。以上から、「研究開発成果の最大化」に向けて顕著な成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められる。</p> <p>【拠点や病院の一体的な運営の促進】</p> <ul style="list-style-type: none"> PD、PS、POと共に革新的医療技術創出拠点へのサイトビジット等を通じ、アカデミア等における画期的な基礎研究成果を一貫して実用化につなぐ体制の構築や各開発段階のシーズについて国際水準の質の高い臨床研究や治験を実施・支援する体制の整備に向けた指導助言を行ったことで、各拠点の体制整備の進捗が認められた。また、文部科学省所管の事業と厚生労働省所管の事業のシーズを合同で公募し、同一の課題評価委員会で評価するようPD、PS、PO、文部科学省及び厚生労働省と調整し、省庁間のリエゾンをより一層強化する方向性を明確に 	<ul style="list-style-type: none"> 平成30年度における中長期目標・計画の実施状況については、医師主導治験・FIH試験の件数は、双方とも本プロジェクトの推移において経時的に増加傾向にあるなど、「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ため、評価をAとする。 一体的な運営については、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、PD・PS・PO、文部科学省、厚生労働省と連携の上、サイトビジットによる体制整備状況の確認・助言を行うとともに、合同会議及び全体会議において拠点間で情報を共有することにより、橋渡し研究戦略的推進プログラム及び臨床研究中核病院関連事業による拠点の一体的な運営を促進する取組を着実に実施していることは高く評価できる。 拠点機能の強化等については、機構が中心となって、PD・PS・PO、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、各拠点の機能の人材確保・育成を含めた強化・特色化、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、ARO機能の整備状況の確認及び改善・向上等の為の適切な指導・助言 			

			<p>の議論を深めることができた。</p> <p>平成 29 年度のサイトビジットでは、拠点の自立化に向けて必要な、基礎から実用化まで一貫した研究課題のマネジメントや研究開発戦略を実現するために必要な体制についての議論を深めることができた。</p> <p>平成 30 年度のサイトビジットでは、拠点の自立化に向けて必要な、基礎から実用化まで一貫した研究課題のマネジメントや研究開発戦略を実現するために必要な体制についての議論を深めることができた。サイトビジットの調査票について見直しを行い、これまでの調査との継続性に配慮するとともに、医療法に基づく調査等との重複部分について削除し負担軽減・効率化を図る一方、拠点の自立化関連指標や臨床研究法施行後の対応状況等の必要な項目については重点的に記入を求める様式に改訂した。変更点について拠点を訪問しての説明を行ったことにより、拠点において改訂の意図が反映された調査票が作成された。また、拠点内外におけるシーズ発掘体制について確認を行った。それらの記載内容から、シーズ発掘や育成を担うプロジェクトマネージャーの人材不足が各拠点共通の課題として抽出され、その解決策を協議するための拠点間ネットワーク実務者 WG による取組を平成 30 年度内に開始した。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・サイトビジットでは、重点事項に焦点を絞ることで調査実施の効率化を図ったほか、当課以外の関係課室の参加の下、当課以外の関係課室から研究費を受けるシーズの進捗管理・助言指導も併せて行い、効率的に研究支援機能調査を実施した。 ・喫緊の課題である持続可能な自立した革新拠点を目指すため、自立の程度が明確になるよう、サイトビジットを効果的・効率的に行うことに取り組んだ。更に、サイトビジットを受け、PD、PS、PO 会議などを通じて拠点への指導・助言ができるよう取り組んだ。 ・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に対する対応や、研究成果の実用化のための体制構築について各拠点の取組状況をヒアリングするとともに、PD、PS、PO、文部科学省、厚生労働省等と連携の上、拠点の ARO 機能等の体制整備状況について適切なアドバイスを行った。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 	<p>したことは高く評価できる。</p> <p><今後の課題></p> <ul style="list-style-type: none"> ・サイトビジットの効果的及び効率的な実施の仕方、各拠点の成果の把握の方法(様式)などについては、文部科学省、厚生労働省及び拠点とともに引き続き検討が必要である。 ・より緊密な一体化運営を実現するためには、橋渡し拠点と臨床研究中核病院が完全には同一でないことも考慮しながら、拠点間のネットワークを強化し、拠点外シーズをより支援していく必要がある。 	<p>を実施していることは、今後の成果の創出に資するものであり、高く評価できる。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・平成 27 年 4 月より制度化された臨床研究中核病院に 12 病院が承認され、その多くが橋渡し研究支援拠点を兼ねた拠点として整備されてきていることは、基礎研究から実用化へ一貫して繋ぐ観点から高く評価できる。 ・臨床研究・治験従事者、臨床研究コーディネーター、データマネージャー、倫理審査委員会・治験審査委員会委員、生物統計家、モニター、監査担当者、起業家人材、細胞培養士、レギュラトリーサイエンスの専門家などの臨床研究や治験を推進する専門人材の確保・育成について、拠点合同で取組、拠点外の人材も育成していることは、高く評価できる。 ・上記のような取組を推進した結果、アカデミア発医療技術の実用化（重症心不全に対する骨格筋芽細胞シートによる治療、結節性硬化症に対するラパマイシン外用剤による治療、肝線維化に対するオートタキシンによる診断技術、脊髄損傷に対する自家骨髄間葉系幹細胞による治療など）や、革新的医療技術の医師主導治験の実施（ペプチドワクチンによるがん治療、口腔粘膜上皮細胞シート移植による角膜治療、先天性難治性皮膚疾患に対する自家培養表皮シート療法の FIH 試験など）を果たすなど、多数の画期的成果を創出したこ 	
--	--	--	--	---	---	--

			<p>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。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・橋渡し研究加速ネットワークプログラムにおいて、課題選考委員会を設置し、平成27年6月及び平成28年2月に事前評価委員会を開催し、適切な課題を選定した。 ・平成29年度革新的医療技術創出拠点プロジェクト関連シーズの公募から、文部科学省が所管する橋渡し研究戦略的推進プログラムと厚生労働省が所管する革新的医療シーズ実用化研究事業を、同一の課題評価委員会で一体的に評価出来るよう、PD、PS、PO、文部科学省及び厚生労働省と調整を行い、平成29年3～6月、平成29年12～平成30年3月、平成30年6～8月に合同公募を計3回実施し、合同での中間評価を中間・事後評価についても同一の評価委員会で実施するなど、一体的な運営を行うことにより、基礎研究成果を一貫して実用化につなぐ体制が強化された。 ・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、平成31年度公募では採択最低点は6.6点、採 		<p>とは、高く評価できる。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・拠点が抱えるシーズを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より一元的に集約し管理するデータベースによって把握し、それを活用した戦略を立て事業運営をしていることは高く評価できる。 <p><今後の課題></p> <ul style="list-style-type: none"> ・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。 ・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。 ・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。 ・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 	
--	--	--	---	--	---	--

			<p>採最高点は7.5点、令和2年度公募では採最低点は6.5点、採最高点は7.3点（いずれもシーズB・C合算）と極めて高くなっている。</p> <ul style="list-style-type: none"> 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平成31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。 革新的医療技術創出拠点が支援するシーズは1427件（令和元年度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。 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書く拠点への問合せ先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 		<p>用が図れるような体制を検討していくべき。また、AMEDふらっと等との接続性も検討していくべきである。</p> <ul style="list-style-type: none"> 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内での必要な事業間協力体制構築を期待する。 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。 	
--	--	--	--	--	--	--

				<p>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。</p> <p>・本事業における具体的な成果の例は次のとおり。 (成果の例)</p> <ul style="list-style-type: none"> ➤ アcademia発医療技術の実用化 <ul style="list-style-type: none"> ・重症心不全の治療用の骨格筋芽細胞シート ・人工手関節が薬事承認を取得 (DARTS 人工手関節) ・ラパマイシン外用剤による結節性硬化症皮膚病変治療 ・慢性特発性血小板減少性紫斑病 (ITP) に対するリツキシマブの有効性と安全性の検討を目的とした第Ⅲ相試験 ・世界初の「マーカに基づく4次元コーンビームCT再構成」による適合強度変調陽子線治療の国際連携橋渡し研究 ・オートタキシン ・ヒト(自家)骨髄由来間葉系幹細胞(脊髄損傷) ・人工真皮 ・AMG0001 ・メラ金属コネクタ ・小径金マーカ ・SCOLIOMAP 脊柱側弯モニター ・バイポーラ RFA システム ・トシリズマブ ・シクロスポリン ・ボナーク® ・AMG0001 ➤ 医師主導治験の実施 <ul style="list-style-type: none"> ・ペプチドワクチンによるがん治療 ・口腔粘膜上皮細胞シート移植による角膜治療 ・HVJ エンベロープベクターによる癌遺伝子治療 ・先天性難治性皮膚疾患に対する自家培養表皮シート療法 FIH 試験 ・腸管下痢症に対するコメ型経口ワクチン ・糖尿病等の難治性皮膚潰瘍に対する再生治療 ・半導体レーザーを用いた温熱装置による放射線抵抗性表在癌治療 			
--	--	--	--	--	--	--	--

			<ul style="list-style-type: none"> ・VCP ATPase 阻害剤を用いた眼難治疾患に対する治療法開発 ・新規培養法による自己骨髄間質細胞を用いた脳梗塞・脊髄損傷の再生医療法の開発 ・AMPA 受容体可視化のための PET プローブ ・レーザー血栓溶解治療システムの開発 ・歯科用局所麻酔剤アーティカインを用いた医師主導治験 ・難病への治療応用を目指した臍帯および臍帯血由来細胞の系統的資源化とその応用 ・機能性タンパク質シルクエラスチンを用いた新規医療材料の開発および臨床研究 ・重症クローン病に対する同種卵膜間葉系幹細胞による新たな治療法の開発 ・椎間板再生治療における組織修復材の開発 ・薬剤抵抗性の切除不能膀胱癌に対する核酸医薬 STNM01 の超音波内視鏡ガイド下投与の医師主導治験 ・難治性角結膜疾患に対する培養自家口腔粘膜上皮シート移植 ・がん特異的アミノ酸輸送体阻害作用を有する抗がん剤の臨床 POC 取得 ・C 型肝硬変等に対する CBP/β-カテニン阻害剤を用いた抗線維化治療薬の開発 ・次世代シーケンサーによる網羅的がん関連遺伝子パネル解析を用いた HER2 遺伝子 変異陽性の進行非小細胞肺癌に対する治療開発を目指した研究 ・認知症に対する経頭蓋超音波治療装置の開発 ・自閉スペクトラム症患者におけるピリドキシミンの有効性および安全性を評価する医師主導第 II 相試験 ・M201-A 塩酸塩による革新的な心房細動治療薬の開発 ・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 チャネルopathy) に対する新規治療法の創出を目指す開発研究 ・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 ・網膜色素変性症に対する経強膜ウノプロストン 		
--	--	--	---	--	--

				<p>徐放製剤を用いた安全性及び有効性評価のための I / II a 相試験</p> <ul style="list-style-type: none"> ・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 ・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 ・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 <p>※ 橋渡し研究加速ネットワークプログラム (H24-H28)、橋渡し研究戦略的推進プログラム (H29-H33)</p> <p>※臨床研究中核病院関連事業</p> <p>世界に先駆けた革新的新薬・医療機器創出のための臨床試験拠点の整備事業、臨床試験支援機能構築事業、臨床研究品質確保体制整備事業、未承認医薬品等臨床研究安全確保支援事業、国際共同臨床研究実施推進事業、医療技術実用化総合促進事業 (未承認医薬品等臨床研究安全性確保支援プログラム、国際共同臨床研究実施推進プログラム、臨床研究・治験従事者研修及び啓発プログラム、医療系ベンチャー育成支援プログラム、先進医療等実用化促進プログラム)、早期探索的・国際水準臨床研究事業、革新的医療シーズ実用化研究事業、中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会基盤整備事業、中央 IRB 促進事業、倫理審査委員会報告事業、臨床研究実施基準等適合性確認費、ARO 機能評価事業</p>			
<p>人材確保・育成を含めた拠点機能の強化・特色化、ネットワーク化、オープンアクセス化及びシーズの拡大を更に推進する。</p>	<p>また、若手研究者等の教育や実施研修、データマネージャーなどの専門人材の教育訓練や講習会等による人材育成に加えて、先進的なプログラムの導入や人材交流等を積極的に推進し、拠点機能の強化・特色化を進める。橋渡し研究支援拠点の</p>	<p><評価軸></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したか。</p> <p><モニタリング指標></p> <ul style="list-style-type: none"> ・上記の評価軸に係る取組状況等 	<p>■人材確保・育成を含めた拠点機能の強化・特色化</p> <p>【橋渡し研究加速ネットワークプログラム (*)、臨床研究中核病院関連事業 (※)、臨床研究・治験従事者研修及び啓発事業、生物統計家育成支援事業】</p> <ul style="list-style-type: none"> ・拠点へのフォローアップ調査やサイトビジットにおいて、生物統計家や CPC 技術員の確保状況を把握するとともに、プロジェクトマネジメント、臨床研究コーディネーター (CRC)、データマネージャー (DM)、モニタリング、監査、生物統計家等、質の高い臨床研究遂行のための人員確保状況および今後の充足予定を把握した。また、CPC 業務をこなす細胞培養員等に対しては、学会と協働のもと拠点を対象とした講習会を開催するなどの人材育成を行った。 	<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"> ・拠点機能の強化・特色化のために、専門人材の育成や確保に加え、拠点外とのネットワークの強化を実施し革新的な医療技術創出に向けたノウハウの共有を実施し、また、医薬品・医療機器等の研究開発に資する人材育成について実践的なプログラムを拠点が連携して開始したこと、さらに、拠点の保有情報の確 			

	<p>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>	<ul style="list-style-type: none"> ・本予算の取組に加え、平成 27 年度第 1 回調整費を追加配分し、研究支援に関わる人材の充実や教育体制の確立等による拠点機能の強化を図った。さらにデータを迅速にまとめ、その質を確保するデータマネージャー（DM）を養成するための研修を実施するとともに、レギュラトリーサイエンスの専門家の人材確保を図った。 ・平成 28 年度には、質の高い臨床研究を実施できるようにするため、従来から臨床研究コーディネーター（CRC）の経験を積んだリーダーシップが取れる上級者 CRC、データを迅速にまとめ、その質を確保するデータマネージャー（DM）及び治験・倫理審査委員を養成するための研修に加え、臨床研究実施者である医師向けの研修を実施した。 ・臨床研究実施者である医師、上級 CRC、データマネージャー、治験・倫理審査委員の研修事業では、平成 28 年度までプログラム作成、講師の人選等の事務局業務を実施する者を入札で決定していた。平成 29 年度からは、臨床研究中核病院が主催し引き続き研修を実施した。 ・平成 29 年度からは、医療技術実用化総合促進事業の臨床研究・治験従事者研修及び啓発事業において、質の高い臨床研究を実施できるようにするため、臨床研究コーディネーター（CRC）の経験を積んだリーダーシップが取れる上級者 CRC、データを迅速にまとめ、その質を確保するデータマネージャー（DM）及び治験・倫理審査委員、臨床研究実施者である医師・歯科医師向けの研修、倫理審査委員会・治験審査委員会委員養成研修を実施した。 ・平成 27～30 年度の 4 年間で、上級者 CRC 養成研修 8 回、DM 養成研修 10 回、治験審査委員会・倫理審査委員養成研修 15 回、医師向けの臨床研究・治験従事者研修 24 回を実施し、27 年度約 300 名、28 年度約 500 名、29 年度約 900 名、30 年度約 800 名の参加者があり、臨床研究・治験従事者を育成した。 ・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 	<p>認を行う等の取組が進められていることは評価できる。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・生物統計家育成の学位授与コース開設を支援し、学生の受け入れを開始したことは評価できる。 <p><今後の課題></p> <ul style="list-style-type: none"> ・専門的な人材の育成及び人材の確保については長期的なスパンで実施することが必要であり、またそのような取組の実施により拠点外のネットワークの強化にもつながるため、継続的に本取組を実施する必要がある。 <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"> ・他の省庁連携プロジェクト所管事業課等との合同開催によるプロジェクト連携シンポジウムの開催により拠点外シーズも含めた拠点機能の紹介及び活用を図るなどの取組を行ったことは高く評価できる。 <p><今後の課題></p> <ul style="list-style-type: none"> ・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。 		
--	---	--	--	--	--

			<p>席することにより、事業の円滑な移行を図った。</p> <ul style="list-style-type: none"> 橋渡し研究戦略的推進プログラムの拠点間ネットワークにおいて、①モニタリングに係る取組、②監査に係る取組を実施し、拠点合同で拠点内外のモニター等の臨床研究支援人材に対する研修を実施した。 橋渡し研究戦略的推進プログラムにおいて、医薬品・医療機器等の研究開発に資する人材育成を目指して Translational Science & Medicine Training Program (TSMTP) や Japan Biodesign を継続実施するとともに、平成 30 年 10 月から若手研究者等を対象にアントレプレナーの育成を目的とした、臨床開発からビジネスモデルまで、海外事業も含め豊富なビジネス経験を有するトップリーダーによるメンタリングと海外プログラムとの連携による人材育成プログラムである Research Studio を新たに開始した。平成 30 年度のプログラムにおいては、参画拠点の大学に加え、参画していない拠点や全国の拠点外の研究機関の若手研究者からも応募・参加希望があった。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。 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でのシーズ発掘及び 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での検討、人材育成研修の担当者の会合や、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新たに開催し、体制整備や人材育成等に係る情報共有や検討を行った。また、新たに拠点間ネットワーク実務者連絡会として、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情報共有及び議論を行った。拠点間での施設・機器・専門性・教育等の効率的な活用における具体的な取組を検討されたことにより、拠点機能の特色化とネットワーク化が推進された。 平成 30 年度革新的医療技術創出拠点プロジェクト成果報告会において、TSMTP、Japan Biodesign、Research Studio の人材育成プログラムの進捗報告と ARO 支援人材の育成・キャリアパスについてのパネルディスカッションを開催した。 若手研究者を対象とした橋渡し研究人材育成支援プ 			
--	--	--	--	--	--	--

			<p>プログラムである第6回ヤング・サイエンティスト・シンポジウム（米国研究製薬工業協会主催）を AMED が後援し、開催した。</p> <ul style="list-style-type: none"> 平成 28 年度の調整費による中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会基盤整備モデル事業等において、5 機関でのモデル事業等を通じ、中央治験・倫理審査委員会を進めるガイドライン素案作り及び電子申請等の環境整備等の取組を行った。これと連携して、IRUD 事業においては、モデル事業実施機関において先駆的に CIRB を活用した審査を行った。 平成 29 年度の中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会基盤整備事業においては、サイトビジットの際に進捗を確認し、一括審査促進に向けた課題や取組等について議論した。 国際共同研究実施推進事業（平成 28 年度～平成 30 年度）において、課題選考委員会を設置し、平成 29 年 8 月に事前評価委員会を開催し、国際共同臨床研究実施推進拠点を 2 拠点（大阪大学医学部附属病院、国立がん研究センター中央病院）選定した。国際共同臨床研究実施推進拠点（大阪大学、国立がん研究センター）が臨床研究中核病院連絡会議及び「国際共同臨床研究を極める（平成 28 年度）」「競争から協奏へ（平成 29 年度）」と題したシンポジウムを開催し、臨床研究中核病院が実施または支援している国際共同臨床研究に関連するシーズの発掘や現状の課題を共有した。令和元年度には新たに拠点（大阪大学、国立がん研究センター）を選定し、現状の課題等の共有を継続して実施している。 これまで不足が指摘されていた生物統計家の育成については、生物統計家育成支援事業として優秀な生物統計家の人材育成を目的とし、座学的教育を実施する大学院と実学的研修を実施する病院が一体となった育成体制を整備した。平成 28 年度に生物統計家育成支援プロジェクト会議を計 4 回開催し、生物統計家育成支援拠点の公募を実施した。平成 28 年 9 月に東京大学大学院及び京都大学大学院を生物統計家育成支援拠点として選定し、AMED 初の、企業からの寄附金を活用した産官学連携により、両拠点に生物統計講座を設置した。生物統計家人材育成支援事業として平成 29 年 10 月に生物統計家育成支援プロジェクト会議を開催し、それぞれ東京大学大学院および京都大学大学院 			
--	--	--	---	--	--	--

				<p>を中心とする生物統計家育成支援拠点の体制構築方針に対して指導及び助言を行った。平成 29 年度、各育成拠点において入学者選抜試験を実施するとともに、平成 30 年度から学位授与コースを開設し、専門教育・育成研修を開始することとなった。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。</p> <ul style="list-style-type: none"> 橋渡し研究加速ネットワークプログラムにおいて、課題選考委員会を設置し、平成 28 年 7 月に事前評価委員会を開催し、適切な課題を選定した。また、橋渡し研究戦略的推進プログラムにおいて、平成 29 年 3 月に事前評価委員会を開催し、新たに「橋渡し研究支援拠点」を選定した。新たな「橋渡し研究支援拠点」には、既存の 9 拠点（北海道大学、東北大学、東京大学、慶応大学、名古屋大学、京都大学、大阪大学、岡山大学、九州大学）に加えて、筑波大学が選定され、平成 29 年度からは合計 10 拠点となることとなった。 なお、拠点機能は概ね整備されてきたため、平成 29 年度から開始する橋渡し研究戦略的推進プログラム及び医療技術実用化総合促進事業において、拠点機能の特色化を進めていく方針とした。 <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"> 革新的医療技術創出拠点以外の研究機関との連携の強化や専門領域の研究者間での連携の推進を目指し、平成 27 年 11 月～平成 28 年 2 月にかけて本連携プロジェクト以外の 8 つの連携プロジェクトについて、機構内のプロジェクト担当課及び拠点等とプロジェクト連携シンポジウムの開催を企画し、8 つの連携プロジェクトにおいてそれぞれ実施し、拠点のネットワーク機能の強化、拠点外との連携の強化を図った。平成 28 年度においては、革新的医療技術創出拠点以外の研究機関との連携、専門領域の研究者間での連携の推進、さらには特定テーマにおけるネットワーク構築を目指し、平成 28 年 9 月～平成 29 年 1 月にかけて本連携プロジェクト以外の 8 つの連携プロジェクトについて、各 PD、PS、PO の意見も踏まえつつ、AMED 内のプロジェクト担当課及び拠点等とプロジェクト連携シンポジウムの開催を企画し、合計 4 回のシンポジウムを開催した。これにより、特定テーマに対し拠点 			
--	--	--	--	---	--	--	--

			<p>も含めたネットワーク作り・縦横連携をより深化させた。シンポジウムは好評を博し、PD、PS、POの参加人数や1回あたりの参加人数等において平成27年度を上回った。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・拠点が保有するシーズ情報やデータマネジメントシステムについて、R&Dパイプライン管理システム等への入力やサイトビジットによる調査などを通じて確認を実施した。 ・臨床研究中核病院の臨床研究の質を向上させ、臨床研究のさらなる安全性の確保をはかるため、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質の担保を図ると共にそのデータを研究等にも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に出向し、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。 ・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・管理するとともに、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。 <p>・これらの取組を通じ、拠点外シーズ数は平成27年度146件、平成28年度206件、平成29年度317件、平成30年度406件、令和元年度467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</p> <p>※橋渡し研究加速ネットワークプログラム（H24-H28）、橋渡し研究戦略的推進プログラム（H29-H33）</p> <p>※臨床研究中核病院関連事業</p>			
--	--	--	---	--	--	--

			世界に先駆けた革新的新薬・医療機器創出のための臨床試験拠点の整備事業、臨床試験支援機能構築事業、臨床研究品質確保体制整備事業、未承認医薬品等臨床研究安全確保支援事業、国際共同臨床研究実施推進事業、医療技術実用化総合促進事業（未承認医薬品等臨床研究安全性確保支援プログラム、国際共同臨床研究実施推進プログラム、臨床研究・治験従事者研修及び啓発プログラム、医療系ベンチャー育成支援プログラム、先進医療等実用化促進プログラム）、早期探索的・国際水準臨床研究事業、革新的医療シーズ実用化研究事業、中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会基盤整備事業、中央 IRB 促進事業、倫理審査委員会報告事業、臨床研究実施基準等適合性確認費、ARO 機能評価事業			
また、ICH-GCP 準拠の国際水準の質の高い臨床研究や医師主導治験を実施するとともに、ARO 機能を持ち、多施設共同研究の支援を行う施設としてこれら拠点の整備を進める。なお、ARO 機能の更なる活用のため、各医療機関が有する ARO 機能について客観的な評価も行う。	臨床研究中核病院等といった ICH-GCP 準拠の国際水準の臨床研究や医師主導治験を実施又は支援することが可能な環境の整備を推進するとともに、橋渡し研究支援拠点において基礎研究段階から実用化まで一貫した支援を行う人材・体制を整備して、育成したシーズを強力かつ切れ目なく効率的に実用化につなげる体制の構築を推進する。なお、ARO 機能の更なる活用のため、各医療機関が有する ARO 機能について客観的な評価も行う。さらに、倫理審査の効率化や審査の質の統一を図ること	<p><評価軸></p> <ul style="list-style-type: none"> ・ICH-GCP 準拠の国際水準の質の高い臨床研究や医師主導治験を実施するとともに、ARO 機能を持ち、多施設共同研究の支援を行う施設としてこれら拠点の整備を進めたか。 ・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><モニタリング指標></p> <ul style="list-style-type: none"> ・左記の評価軸に係る取組状況等 	<p>■臨床研究中核病院等の整備と研究開発の推進</p> <p>【橋渡し研究戦略的推進プログラム(※)、臨床研究中核病院関連事業(※)】</p> <ul style="list-style-type: none"> ・本予算の取組に加え、平成 27 年度第 1 回調整費を追加配分し、研究支援に関わる人材の充実や教育体制の確立等による拠点機能の強化を図った。 ・サイトビジットとして、早期・探索的臨床試験拠点、臨床研究品質確保体制整備病院及び日本主導型グローバル臨床研究拠点、臨床研究中核病院、国際共同臨床研究実施推進拠点に対し、ICH-GCP 準拠の国際水準の質の高い臨床研究や医師主導治験を実施するための支援を、サイトビジット等を通じて行った。 ・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>■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"> ・ネットワーク強化及び切れ目ない実用化につなげる体制の構築については、前述の通り拠点合同でモニター・監査の支援人材を養成する研修等を実施した。 ・上記に加え、実務者 WG として、平成 30 年度よりシーズの発掘・実用化を前臨床段階から支援・進捗管理できる 	<p>【臨床研究中核病院等の整備と研究開発の推進、拠点のネットワーク強化及び切れ目ない実用化につなげる体制の構築、中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会の推進】</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ICH-GCP 準拠の質の高い医師主導治験の実施により医薬品医療機器等法に基づく承認品目が出たことは高く評価できるとともに、中長期目標及び今年度目標に掲げられている医療機関に対し、PD、PS、PO とともに文部科学省、厚生労働省とともにサイトビジット等を行い、ARO 機能の整備状況の確認及び改善・向上の為の適切な指導・助言を実施したことは、今後の成果の創出に資するものであり評価できる。 <p><今後の課題></p> <ul style="list-style-type: none"> ・継続的に本取組を実施する。 ・今後も必要な整備は継続しつつ、整備された機能を生かしてシーズの実用化をより一層強化する方策を講じていく必要がある。 ・ARO の支援機能を評価する指標を検討すると共に、各 ARO の特色を見え 		

	<p>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>プロジェクトマネージャーの育成に関する課題について議論する会議を開催した。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。</p> <ul style="list-style-type: none"> 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) 2018にて、臨床研究中核病院 6 拠点 (平成 30 年度)、12 拠点 (令和元年度) 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 (平成 30 年 10 月、令和元年 10 月)。加えて、ピッチセッションや JHVS セミナー、ポスターセッション、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。11 月には全拠点の本プログラム実務担当者間の連絡会を開催し、各拠点のベンチャー支援に関する取組・特長を情報共有し、在り方や連携の方策について検討を行った。連携の重要性を鑑み、定期的な連絡会開催のため取りまとめ機関を決定した。令和元年度には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。 <p>■ARO 機能の客観的な評価</p> <ul style="list-style-type: none"> 「支援機能の見える化」を図るため、ARO 機能評価事業において、拠点等を含む全国の ARO の研究開発支援機能について調査、その結果を類型化しリストを作成し、類型化結果リストをホームページで公開した。平成 30 年度はこの内容を活用しつつ、ARO 機能の利用者であるアカデミアの視点で ARO の支援機能を評価する指標の検討を開始した。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行った。 	<p>る化し、利用を促進していく必要がある。</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"> ・倫理審査の効率化を図るため、中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会基盤整備事業において、厚労省の担当課と調整を図りながら、平成 28 年度の調整費（第 1 回及び第 2 回）を獲得したモデル事業等を通じ中央倫理・治験審査委員会を進めるガイドライン素案作り等の取組を行ったほか、臨床研究中核病院等に設置されている治験審査委員会・倫理委員会に対し、他施設からの審査依頼を受け、一括審査が可能となるような電子申請等のシステムを整備した（平成 28 年 12 月）。 ・平成 28 年度の調整費による中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会基盤整備モデル事業等において、5 機関でのモデル事業等を通じ、中央治験・倫理審査委員会を進めるガイドライン素案作り及び電子申請等の環境整備等の取組を行った。これと連携して、IRUD 事業においては、モデル事業実施機関において先駆的に CIRB を活用した審査を行った。 ・平成 29 年度には、倫理審査の効率化を図るため、中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会基盤整備事業において、厚労省の担当課と調整を図りながら、平成 28 年度の中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会基盤整備モデル事業で作成されたガイドライン案を活用しながら、臨床研究中核病院等に設置されている治験審査委員会・倫理委員会で、他施設からの審査依頼を受け、一括審査をするための体制を整備し、実際に一括審査を行った（平成 30 年 3 月）。また、平成 29 年度第 2 回調整費にて新たに 31 機関を採択し、臨床研究法施行後に一括審査を円滑に進めるために必要な課題抽出及び運営ノウハウの共有についての会議を、疾患等 6 つの分野ごとに実施した。 ・中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会基盤整備事業及び臨床研究・治験推進研究事業での研究成果が、臨床研究法における施設基準や臨床研究審査委員会の位置づけの明確化、利益相反管理に活用された。 ・平成 30 年 4 月、臨床研究法の施行に伴い、必然的に中央 IRB 化が進むことが想定されるが、中央 IRB での審査実績が十分でない機関が審査することによる委員会の運用や審査の視点にバラツキが生じる可能性がある。そこで、平成 30 年度は、平成 30 年度 4 月 1 日までに、臨床研究法第 23 条 1 項において厚生労働大臣の認定をうけ認定臨床研究審査委員会となった機関が参加する協 			
--	--	--	--	--	--	--

			<p>議会を設置し、特定臨床研究を含めた臨床研究を審査する上での課題等について4つのワーキンググループ（①臨床研究法の統一書式及び利益相反管理様式の見直しについて検討②法施行前より実施中の特定臨床研究に関する調査③技術専門員の評価実績に関する調査④地域ごとの臨床研究審査委員会に関する情報整理と提供方法について検討）検討することで、審査する研究の質の担保を図ると共に研究の促進を図った。本協議会における議論等を踏まえ、厚生労働省において臨床研究法の統一書式の見直しがなされ、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。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・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。令和元年度には、多施設共同研究における事務局業務支援システム仕様に関する検討、非介入研究審査ガイドラインの運用及び改訂を検討した。 <p>* 橋渡し研究加速ネットワークプログラム（H24-H28）、橋渡し研究戦略的推進プログラム（H29-H33）</p> <p>※臨床研究中核病院関連事業</p> <p>世界に先駆けた革新的新薬・医療機器創出のための臨床試験拠点の整備事業、臨床試験支援機能構築事業、臨床研究品質確保体制整備事業、未承認医薬品等臨床研究安全確保支援事業、国際共同臨床研究実施推進事業、医療技術実用化総合促進事業（未承認医薬品等臨床研究安全性確保支援プログラム、国際共同臨床研究実施推進プログラム、臨床研究・治験従事者研修及び啓発プ</p>			
--	--	--	---	--	--	--

			<p>ログラム、医療系ベンチャー育成支援プログラム、先進医療等実用化促進プログラム)、早期探索的・国際水準臨床研究事業、革新的医療シーズ実用化研究事業、中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会基盤整備事業、中央IRB促進事業、倫理審査委員会報告事業、臨床研究実施基準等適合性確認費、ARO機能評価事業</p>																																																			
<p>これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、</p> <ul style="list-style-type: none"> ・医師主導治験届出数 年間40件 ・First in Human (FIH) 試験 (企業治験を含む) 年間40件 <p>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"> ・医師主導治験届出数 年間40件 ・First in Human (FIH) 試験 (企業治験を含む) 年間40件 <p>を目指すものとする。</p>	<p><評価指標></p> <p>【2020年までの達成目標】</p> <ul style="list-style-type: none"> ・医師主導治験届出数 年間40件 ・First in Human (FIH) 試験 (企業治験を含む。) 年間40件 <p><モニタリング指標></p> <ul style="list-style-type: none"> ・応募件数及び採択件数 ・事業に参画している研究者延べ人数 ・PMDAへの薬事戦略相談を行った研究開発課題数 ・機動的な研究推進のため年度内に契約変更を実施した課題数 	<p>■医療分野研究開発推進計画 達成すべき成果目標 (KPI)</p> <table border="1"> <thead> <tr> <th></th> <th>27年度</th> <th>28年度</th> <th>29年度</th> <th>30年度</th> <th>元年度</th> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td>応募件数</td> <td>187件</td> <td>135件</td> <td>382件</td> <td>211件</td> <td>190件</td> </tr> <tr> <td>採択件数</td> <td>57件</td> <td>31件</td> <td>109件</td> <td>52件</td> <td>61件</td> </tr> <tr> <td>事業に参画している研究者延べ人数</td> <td>927人</td> <td>2057人</td> <td>2144人</td> <td>3309人</td> <td>2651件</td> </tr> <tr> <td>PMDAへの薬事戦略相談を行った研究開発課題数</td> <td>204件</td> <td>132件</td> <td>173件</td> <td>185件</td> <td>200件</td> </tr> <tr> <td>機動的な研究推進のため年度内に契約変更を実施した課題数</td> <td>77件</td> <td>53件</td> <td>63件</td> <td>53件</td> <td>57件</td> </tr> <tr> <td>医師主導治験届出数 (AMED全体)</td> <td>31件 (67件)</td> <td>24件 (66件)</td> <td>33件 (49件)</td> <td>36件 (59件)</td> <td>21件 (44件)</td> </tr> <tr> <td>FIH試験 (企業治験含む) (AMED全体)</td> <td>16件 (30件)</td> <td>24件 (40件)</td> <td>26件 (45件)</td> <td>22件 (32件)</td> <td>30件 (36件)</td> </tr> </tbody> </table> <p>・医師主導治験届出 (例)</p>		27年度	28年度	29年度	30年度	元年度	応募件数	187件	135件	382件	211件	190件	採択件数	57件	31件	109件	52件	61件	事業に参画している研究者延べ人数	927人	2057人	2144人	3309人	2651件	PMDAへの薬事戦略相談を行った研究開発課題数	204件	132件	173件	185件	200件	機動的な研究推進のため年度内に契約変更を実施した課題数	77件	53件	63件	53件	57件	医師主導治験届出数 (AMED全体)	31件 (67件)	24件 (66件)	33件 (49件)	36件 (59件)	21件 (44件)	FIH試験 (企業治験含む) (AMED全体)	16件 (30件)	24件 (40件)	26件 (45件)	22件 (32件)	30件 (36件)			
	27年度	28年度	29年度	30年度	元年度																																																	
応募件数	187件	135件	382件	211件	190件																																																	
採択件数	57件	31件	109件	52件	61件																																																	
事業に参画している研究者延べ人数	927人	2057人	2144人	3309人	2651件																																																	
PMDAへの薬事戦略相談を行った研究開発課題数	204件	132件	173件	185件	200件																																																	
機動的な研究推進のため年度内に契約変更を実施した課題数	77件	53件	63件	53件	57件																																																	
医師主導治験届出数 (AMED全体)	31件 (67件)	24件 (66件)	33件 (49件)	36件 (59件)	21件 (44件)																																																	
FIH試験 (企業治験含む) (AMED全体)	16件 (30件)	24件 (40件)	26件 (45件)	22件 (32件)	30件 (36件)																																																	

				<ul style="list-style-type: none"> ・ペプチドワクチンによるがん治療 ・口腔粘膜上皮細胞シート移植による角膜治療 ・HVJ エンベロープベクターによる癌遺伝子治療 ・先天性難治性皮膚疾患に対する自家培養表皮シート療法 ・VCP ATPase 阻害剤を用いた眼難治疾患に対する治療法開発 ・新規培養法による自己骨髄間質細胞を用いた脳梗塞の再生医療法の開発 ・AMPA 受容体可視化のための PET プローブ ・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 <p>・FIH 試験 (企業治験を含む) (例)</p> <ul style="list-style-type: none"> ・腸管下痢症に対するコメ型経口ワクチン ・糖尿病等の難治性皮膚潰瘍に対する再生治療 ・半導体レーザーを用いた温熱装置による放射線抵抗性表在癌治療 ・レーザ血栓溶解治療システムの開発 ・新規培養法による自己骨髄間質細胞を用いた脳梗塞の再生医療法の開発 ・歯科用局所麻酔剤アーティカインを用いた医師主導治験 ・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 <p><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主務大臣評価を踏まえた課題></p> <p>■指摘事項</p> <p>・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。</p> <p>【対応状況】</p> <ul style="list-style-type: none"> ・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 			
--	--	--	--	---	--	--	--

				<p>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。</p> <p>■指摘事項</p> <ul style="list-style-type: none"> ・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。 <p>【対応状況】</p> <ul style="list-style-type: none"> ・生物統計家人材育成事業において令和 2 年度には第 I 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。 ・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。 ・「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。 <p>■指摘事項</p> <ul style="list-style-type: none"> ・橋渡し研究支援拠点における支援課題の企業導出を 			
--	--	--	--	--	--	--	--

			<p>促進し、産学連携の取組を強化する必要がある。</p> <p>【対応状況】</p> <ul style="list-style-type: none"> 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。 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。 <p>■指摘事項</p> <ul style="list-style-type: none"> 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。 <p>【対応状況】</p> <ul style="list-style-type: none"> 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。 <p>■指摘事項</p> <ul style="list-style-type: none"> 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。 <p>【対応状況】</p> <ul style="list-style-type: none"> 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。 「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、拠点到公募情報を周知することにより、 			
--	--	--	--	--	--	--

			<p>拠点の利活用促進を図った。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・「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。 <p>■指摘事項</p> <ul style="list-style-type: none"> ・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。 <p>【対応状況】</p> <ul style="list-style-type: none"> ・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。 			
--	--	--	---	--	--	--

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 889-4、経済産業省 0032）

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

注 2) 上記以外に必要な情報があれば欄を追加して記載しても差し支えない

3. 中長期目標、中長期計画、年度計画、主な評価軸、業務実績等、年度評価に係る自己評価及び主務大臣による評価

中長期目標	中長期計画	主な評価軸（評価の視点）、指標等	法人の主な実績等・自己評価		主務大臣による評価			
			主な業務実績等	自己評価	（見込評価）		（期間実績評価）	
					評価	A	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。再生医療の基礎研</p>	<p><評価軸></p> <ul style="list-style-type: none"> ・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。 <p><モニタリング指標></p> <ul style="list-style-type: none"> ・左記の評価軸に係る取組状況等 	<p><主要な業務実績></p> <ul style="list-style-type: none"> ■iPS細胞の樹立方法の開発とiPS細胞ストックの製作 ・「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」（iPS細胞中核拠点、京都大学CiRA）において、2015年8月6日より臨床に使用出来るiPS細胞ストックの配布を開始した。その後、提供細胞株を徐々にふやしていき、令和元年3月にはHLA型で日本人第4位・末梢血由来の臨床用iPS細胞ストックの提供を開始することが出来た。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、より多くの患者を対象とした再生医療の提供が可能となった。臨床用iPS細胞ストックの提供により、臨床研究、治験に向けた研究が加速することとなり、最近のiPS細胞を使用した臨床研究・治験の実施につながっている。 ・一方、使用しない試薬を使用した可能性が否定できないため、CiRA（京都大学iPS細胞研究所）で構築を進める臨床用iPS細胞ストックの一部の供給を停止したが、①指導的人材の確保を含めた体制強化、②工程管理システムの最適化・管理機能強化、③CSV（Computerized System Validation）※の実施と自動化システムの導入、④予期せぬシステム障害に備えるシステム堅牢性の確保を進め、GCTP（Good Gene, Cellular, and Tissue-based Products Manufacturing Practice）に準拠したストック供給に向け体制を構築し、平成29年10月6日に供給を再開した。 ・「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」（疾患・組織別実用化研究拠点）において、京都大学CiRAの高橋淳教授らは、MHC適合のサルiPS細胞由来のドパミン神経細胞を他のサルの脳に移植するとドパミン神経細胞への免疫反応が抑制され生着率が向上することを確認した。この結果は他家移植において、MHCを適合させることの有用性を示しており、京都大学CiRAにて樹立している臨床用iPS細胞ストックの臨床応用に関わる基礎的な知見となるものである。 ・「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」（再生医療実現化プロジェクト）において、慶應義塾大学医学部 福田恵一教授らは、遺伝子の初期化は受精直後も段階で達成されることに着目し、卵細胞に含まれる成分が遺伝子の初期化に関わっていると仮定し研究を進め、その結果、H1fooという卵細胞特異的なリナーカーヒストンと、京都大学の山中教授が発見した4つの転写 	<p><評価と根拠></p> <p>評価：A</p> <p>AMED設立後この5年間において、②採択課題のマネジメント見直し、外部機関との連携、再生医療ナショナルコンソーシアムの体制構築やiPS細胞バンク、患者・市民参画（PPI）の取組など、再生関連プロジェクトの一体運営と事業運用改善により、①再生医療課題の臨床研究段階又は治験段階への移行47件、iPS細胞を活用した新規治療薬の治験開始4件、周辺機器・装置等の販売開始6製品8品目、省庁における新たなガイドライン策定への貢献など、再生医療研究開発における顕著な成果事例を創出した。また、③研究者交流の推進、若手・国際人材の育成、国際共同公募の実施、患者・一般への情報発信・交流の活動も活性化させており、再生医療分野の基礎研究・応用研究をいち早く実用化・事業化に繋げる基盤を構築した。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>次期は、再生・細胞医療・遺伝子治療事業部という新たな体制において、今期構築した基盤を土台に、再生医療が『3つのLIFE（生命・生活・人生）』</p>	<ul style="list-style-type: none"> ・平成30年度における中長期目標・計画の実施状況については、世界で初めてiPS細胞由来の細胞による臨床研究/治験を開始するなど、平成30年度末までに42件が臨床研究段階又は治験段階に移行した。また、iPS細胞を活用した新規治療薬の探索について4件の治験が開始されるなど、「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ため、評価をAとする。 ・AMED設立後、再生医療に関して、その支援を受けたiPS細胞を用いた臨床試験が計6件開始され、実際に、加齢黄斑変性患者への他家移植は完了しフォローアップ中であり、パーキンソン病患者への他家移植も実施されている。引き続き、安全性を第一に慎重に進めていく必要はあるが、我が国発の全く新しい治療法であり、今後も更なる臨床試験が見込まれるなど、極めて高く評価できる。 ・「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」では、京都大学CiRAにおいて、平成31年3月にHLA型で日本人第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。 			

	<p>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>因子のうち3つを一緒に体細胞に発現させると、より高い多分化能をもつ iPS 細胞が高効率で作製できることを発見した。</p> <ul style="list-style-type: none"> 「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」(iPS 細胞研究核拠点)において、京都大学 CiRA の金子新准教授らは、ゲノム編集技術を用いて、HLA ヘテロ接合体の細胞から他家移植の際にレ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 細胞の研究株の配布が始まった。 <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"> 「再生医療の産業化に向けた細胞製造・加工システムの開発」では、細胞を安定的に大量かつ安全安価に製造・加工する基盤技術として、拡大培養、分化誘導、品質管理、加工、保存等各プロセスにおいて、個別要素の自動化や培地・基材等の周辺技術を開発したと共に、各プロセスが連携した細胞製造システムを構築し、従来の1/10のコスト、細胞回収量が10^{10}個/バッチを達成した。また、各工程を統合し一貫した製造工程を、川崎市殿町のライフイノベーションセンター内に設置したクリーンルームおよび大阪大学吹田キャンパス集中研究所にて実証した。 「再生医療等の産業化に向けた評価手法等の開発」では、日立製作所が、大日本住友製薬と京都大学との共同でパーキンソン病に対する iPS 細胞由来細胞製剤の製造工程で用いる閉鎖型大量自動培養装置を開発し、GCTP 省令 に適合した製品製造が可能な装置(「iACE2」)として国内で初めて製品化する等、大量細胞供給技術の実用化を実現した。 「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」(技術開発個別課題)において、旭硝子株式会社は、プラスチック製培養器の表面にレーザーで数百μm径の小孔を形成し、低接着性の特殊コーティングを施した微細加工細胞培養容器EZSHERE®を開発した。短時間で効率的に均一な細胞塊の iPS 細胞を大量調整し、同一容器内で目的細胞に分化誘導することに成功した。本プログラム内の疾患・組織別実用化研究拠点や、国内の多くの研究者に広く活用され、再生医療等の実用化に必須の培養器として展開している。 「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」(再生医療実現化プロジェクト)において、京都大学 CiRA、千葉大学再生治療学研究センター長の江藤浩之教授は、マウスの生体内観察により、血液の乱流が巨核球から血小板の生成を促進させることを突き 	<p>に対して可能性と選択肢を拡げ、社会に展開していくための新たなフェーズへ移行し、再生医療分野に留まらない分野融合、若手研究者の参画等による研究の加速、患者や家族、市民の皆様、社会や地域との共創など、オープンな形で再生医療(研究)の社会展開を目指していく。</p> <p>【iPS細胞の樹立方法の開発とiPS細胞ストックの製作】</p> <ul style="list-style-type: none"> 細胞分化に関する基礎研究の成果を活用し、臨床用HLAホモ iPS 細胞ストックは日本人の40%をカバーするところまで到達し、当面(令和2年度末まで)の目標である50%カバー達成に向けて進捗していること、サルを用いた動物実験から、HLAホモ iPS 細胞の他家移植の有用性が示されたことによるヒトへの臨床応用への基礎的知見が得られたこと、次世代の iPS 細胞ストック構築に向けた新たな知見が得られたことなどは、高く評価できる。 <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"> アカデミアと企業との連携のもと、大量、安定的、かつ安全に製造するシステムを実用化にまで持ち込めたことは大変評価出来る。 個別の疾患の臨床研究・治験を目指した課題等において 	<p>また、iPS細胞ストックが既に日本人の約40%をカバーするところまで到達しており、当面の目標である50%カバー達成に向け、着実に進捗していることは高く評価できる。</p> <ul style="list-style-type: none"> 「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」で支援された基礎研究に関して、MHC適合のサルを用いた iPS 細胞由来ドパミン神経細胞の生着率向上、血液の乱流を利用した iPS 細胞由来血小板の生成促進、ゲノム編集を用いた次世代の iPS 細胞ストックの開発、オルガノイドの開発等、国際的にも著名な成果が導出されている。これらの成果を基に、iPS細胞を用いた臨床展開がなされており、非常に高く評価できる。 平成29年度に開始した「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、疾患特異的 iPS 細胞を用いた疾患メカニズムの解明及び創薬研究を目的とした研究拠点(14拠点)を設置した。各拠点において創薬研究を進めると共に、iPS細胞樹立課題やバンク利活用促進課題を通じて、作成した iPS 細胞の利活用を促進する取組を進めていることは評価できる。 「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」において、多くの研究者・企業に活用される 	
--	--	--	---	---	---	--

			<p>止め、乱流を発生させる縦型培養装置を開発し、乱流エネルギー、せん断応力などの物理変数を適合させることにより、実際の輸血に必要な量の高品質の血小板を作製することを可能とした。今後の血小板生成の研究、輸血医療等に影響をもたらすことが期待される。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・「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。 <p>【高度培養技術の開発】</p> <ul style="list-style-type: none"> ・「再生医療の産業化に向けた細胞製造・加工システムの開発」では、細胞を安定的に大量かつ安全安価に製造・加工する基盤技術として、拡大培養、分化誘導、品質管理、加工、保存等各プロセスにおいて、個別要素の自動化や培地・基材等の周辺技術を開発したと共に、各プロセスが連携した細胞製造システムを構築し、従来の 1/10 のコスト、細胞回収量が 10¹⁰ 個/バッチを達成した。また、各工程を統合し一貫した製造工程を、川崎市殿町のライフイノベーションセンター内に設置したクリーンルームおよび大阪大学吹田キャンパス集中研究所にて実証した。 ・「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」(技術開発個別課題)において、大阪大学蛋白質研究所 関口清俊教授らは、細胞ごとに最適な足場蛋白質を探索し、再生医療用 iPS 細胞の培養に適したラミニン 511E8 フラグメントの製造方法を確立した。独立行政法人医薬品医療機器総合機構 (PMDA) より生物由来原料基準へ適合との判断を受けた。ラミニンフラグメントの臨床グレードの製品が、本プログラム内の疾患・組織別実用化研究拠点で広く活用され、移植医療用 iPS 細胞の製造など、iPS 細胞を利用した再生医療の研究開発を加速した。 ・「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」(疾患・組織別実用化研究拠点)において、慶應義塾大学 岡野栄之教授らは、神経幹細胞移植、高効率神経細胞分化、血管内皮細胞作成など臓器・組織別で高度培養技術の成果が得られた。神経幹細胞移植においては、Notch シグナル阻害薬剤で前処理した造腫瘍性のある iPS 細胞を脊髄損傷モデルマウスに移植し、移植細胞の造腫瘍性をブロックする新たな腫瘍化対策の方法を示した。 ・「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」(技術開発個別課題)において、慶應義塾大学 洪実教授らは、ES 細胞、iPS 細胞から短時間・高効率で細胞の DNA を傷つけずに目的細胞に分化させる「細胞分化カクテル」を開発し、販売を開始した。 	<p>も、実用化に向けた基盤技術等の開発が進んでいることは評価できる。</p> <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"> ・基礎から臨床・治験段階まで、一貫した支援を実施し、着実に進捗管理を行い、成果を積み上げていることは評価できる。 ・再生医療研究課の再生医療実用化研究事業と、医薬品等規制科学課の医薬品等規制調和・評価研究事業が連携して課題管理したことは高く評価できる。 ・「再生医療ナショナルコンソーシアム」等において、再生医療に関する臨床研究支援の基盤の整備が進んでいることは高く評価できる。 	<p>環境を整備するために、疾患特異的 iPS 細胞の寄託を受けるバンクの運営体制を構築し、既に 3000 株を超える寄託を受けており、寄託された疾患特異的 iPS 細胞のリストをウェブ上で一般公開し利用促進に努めている。実際に 100 疾患を超える疾患特異的 iPS 細胞を希望者に提供しており、iPS 創薬を展開していくための我が国における基盤が構築されており、高く評価できる。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」における iPS 創薬に資するサブプログラムの支援課題により同定された治療候補薬を用いて、計 4 件の医師主導治験が開始された。従来は治療法の無かった難病等に対して iPS 創薬を用いた新規治療薬開発の可能性が今後も大いに期待できる成果であり、非常に高く評価できる。 ・「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」のサブプログラムである幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラムを平成 28 年度より新しく開始し、基礎研究への支援を充実するとともに、若手研究者枠による若手の育成や国際レビューワーによる評価を受けた国際若手研究者枠を設け、再生医療分野の次世代のシーズの発掘及び研究者の裾野を広げたことは非常に高く評価できる。 ・「再生医療実現拠点ネットワー 	
--	--	--	--	--	--	--

			<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"> ・「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」(技術開発個別課題)における新規公募、「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」(幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム)を新規事業として立ち上げるなど、目標達成型の基礎研究の支援を開始した。幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラムでは、若手研究者育成の枠を設け、若手研究者の育成を進めた。さらに平成31年度(令和元年度)公募では国際若手研究者育成枠を設け、国際レビューアの導入を行った。 ・「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」(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。この細胞は凍結保存が可能で、増幅できることから、肝臓や腸のオルガノイドの作成が容易になる。次世代の臨床研究のシーズとなるような成果があがっている。 <p>■造腫瘍性等に関する研究等の支援</p> <ul style="list-style-type: none"> ・「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」(再生医療実現化プロジェクト)や、「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」(疾患・組織別実用化研究拠点)において、造腫瘍性試験を支援している。また、規制支援を目的とした再生医療実現化プロジェクトの課題が各課題・拠点を横断的にバックアップし、First in Humanの実施に向けて取り組んでいる。 ・再生医療実用化研究事業において、医薬品等規制科学課の医薬品等規制調和・評価研究事業と連携し、造腫瘍性等に関する以下の研究への支援を行った。 <ul style="list-style-type: none"> ➢ 国立医薬品食品衛生研究所の佐藤部長らは、ヒトiPS細胞等の多様性幹細胞由来移植細胞の臨床応用における最大の隘路とされる造腫瘍性評価について、国内外の動向調査を行った結果、性能が担保された造腫瘍性試験における非臨床評価が重要であることを再確認した。本成果を広く海外に周知する目的で、健康環境科学研究機構(HESI)のCT-TRACS委員会、各極産官学メンバーと共同でポジションペーパー案を作成し、公開の準備を行っている。また、造腫瘍性試験に関する官民共同・多施設による研究体制を構築し、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 		<p>クプログラム」で支援する基礎研究課題を臨床研究・治験の段階に円滑に移行することを目的として、臨床移行に必要な準備等をまとめた「再生医療研究事業のマネジメントに関するチェック項目」が、「再生医療実用化研究事業」における採択時の評価及び進捗管理に活用されており、研究者及び評価者の両方にとって研究を進めていく上での非常に有益なツールとなっており、高く評価できる。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」における周辺技術開発に資する成果として、開発された細胞培養容器や細胞足場素材は実用化研究拠点等で広く利用され、その他の成果に関しても一部は商品化に至っており、再生医療の研究開発を加速したことは、評価できる。 ・「再生医療ナショナルコンソーシアム」等において、日本再生医療学会を中心にアカデミアや企業団体が参画する連合体を構築し、再生医療に関する臨床研究支援の基盤を整備しており、再生医療に携わる全人材のための教科書も作成されており、また細胞培養技術者を対象としたe-learningの構築、「認定再生医療等委員会教育研修会」(平成29年度より、年2回(東京、大阪))も実施されるなど、技術支援、人材教育・育成を行っており、より質の高 	
--	--	--	--	--	--	--

				<p>した。</p> <ul style="list-style-type: none"> ▶ 先端医療振興財団の川真田センター長ら、東京医科歯科大学の森尾教授らは、多能性幹細胞由来の移植細胞における遺伝子情報と造腫瘍性の関連性を検討した。当該研究は、平成 27 年度厚生労働科学特別研究事業「iPS 細胞等を用いた臨床研究を実施する際の移植細胞の安全性評価の在り方に関する研究」（研究代表者：福井次矢）の検討結果を踏まえ、さらなる造腫瘍性に関する科学的知見の蓄積を行い、移植細胞の安全性評価に資する基準案の策定を目指すものである。本研究によって得られた科学的知見をもとに、今後、「特定認定再生医療等委員会におけるヒト多能性幹細胞を用いる再生医療等提供計画の造腫瘍性評価の審査のポイント」が改訂される見込みである。 <p>■再生医療研究基盤整備のための取組</p> <ul style="list-style-type: none"> ▶ 平成 28 年度より「再生医療臨床研究促進基盤整備事業」を開始した。本事業では、代表機関である日本再生医療学会が中心となり、再生医療の知識・経験を有する大学、医療機関等から構成される「再生医療ナショナルコンソーシアム」を構築し、再生医療臨床研究の技術的支援、人材教育・育成、データベースの構築・運用を行うことにより、再生医療臨床研究の基盤を整備することを目的としたものである。 ▶ 「再生医療ナショナルコンソーシアム」では、これまでに 66 件の臨床研究実施・準備支援が行われた。また、再生医療に携わる全人材のための教科書が作成され、令和元年 3 月 21 日に刊行された。細胞培養技術者を対象とした e-learning の構築、「認定再生医療等委員会教育研修会」（平成 29 年度より、年 2 回（東京、大阪）も実施された。このような技術支援、人材教育・育成を行うことにより、より質の高い臨床研究をより多く実施することが可能となる。 ▶ 「再生医療ナショナルコンソーシアム」では、再生医療等臨床研究データ登録システム（NRMD/CR）が構築された。当該システムには、PMDA から委託されている再生医療等製品使用データ登録システムが内包され、臨床研究及び再生医療等製品の市販後のデータが一括で管理できる。これまで、眼科関連研究、心筋領域研究、骨領域研究及び脳神経領域研究で、レジストリー登録の準備が進められ、順次研究領域は広がる予定である。レジストリー登録については、平成 30 年度より、日本医学会連合の協力により、関連学会協 		<p>い臨床研究をより多く実施することを支援していることは、評価できる。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・臨床研究及び治験の推進については、「再生医療実用化研究事業」において、ヒト幹細胞を用いた実用化に近い個別の研究課題に対する支援を行うことで、健康・医療戦略に基づく KPI の目標（2020 年度 35 件）を上回る 41 件の臨床研究又は医師主導治験が実施されたことは、高く評価できる。 ・平成 27 年度から平成 30 年度にかけて、新たに 5 品目の再生医療等製品が薬事承認されており、再生医療等製品の薬事承認数が着実に増加していることは評価できる。 ・「再生医療の産業化に向けた評価基盤技術開発事業」において、個別要素の自動化や培地・基材等の周辺技術を開発したと共に、拡大培養、分化誘導、品質管理、加工、保存等の各プロセスが連携した細胞製造システムを構築し、従来の 1/10 のコスト、細胞回収量が 10^{10} 個/バッチを達成したことは評価できる。 ・国内でのヒト細胞原料供給体制を構築していくことで、安定的な細胞原料の入手が可能となることが期待できる。 ・「再生医療の産業化に向けた評価基盤技術開発事業」におい 	
--	--	--	--	--	--	---	--

			<p>議会を設置することとなり、疾患ごとの専門的項目づくりの効率化が図られるようになった。臨床研究及び市販後のデータを一括管理する本登録システムの利用が広がることで、更なる臨床研究の推進及び再生医療等製品の開発につながる。</p> <p>▶ 「再生医療臨床研究促進基盤整備事業」では、平成 29 年度に、再生医療等提供計画の審査を行う認定再生医療等委員会の質向上を目的とする研究課題を創設した。当該研究課題において、認定再生医療等委員会の審査状況を把握し、審査のチェックポイント案が作成された。また、当該検討の中で、現行の認定再生医療等委員会の制度自体を見直す必要性が提案されたこと等を受け、本研究課題は平成 30 年度で終了し、令和元年度からは厚生労働省の事業として、引き続き、委員会制度の見直し等が行われることとなった。</p> <p>注：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）のうち、平成 29 年度の予算額、決算額、経常費用、経常利益の値が、誤記のため自己評価報告書と異なっている。</p>		<p>て、ベンチャーを含む民間企業を対象としたシーズ開発支援は、薬事規制に沿った製造方法の確立や非臨床試験等の実施を支援しており、再生医療の産業の発展に寄与することが期待できる。</p> <p>・「再生医療等の産業化に向けた評価手法等の開発」について、パーキンソン病に対する iPS 細胞由来神経細胞製剤の開発において、共同研究者である日立製作所が GCTP 省令に適合した iPS 細胞大量自動培養装置（「iACE2」）を開発したことは評価できる。</p>
<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</p>	<p><評価軸></p> <ul style="list-style-type: none"> 再生医療の臨床研究及び治験の推進や再生医療等製品の安全性評価手法の開発等を行ったか。 再生医療の実現化を支える産業基盤を構築したか。 <p><モニタリング指標></p> <ul style="list-style-type: none"> 左記の評価軸に係る取組状況等 	<p>■再生医療の臨床研究及び治験の推進</p> <ul style="list-style-type: none"> 臨床研究及び治験の推進については、「再生医療実用化研究事業」において、ヒト幹細胞を用いた実用化に近い個別の研究課題に対する支援を行った。これまで 37 件の臨床研究又は医師主導治験が実施され、そのうち、14 件は「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」から引き続き、「再生医療実用化研究事業」で平成 27 年度以降に支援を開始したものである。「再生医療実用化研究事業」の支援により医師主導治験を行ったもののうち、3 件が薬事承認申請をする予定とされており、薬事承認申請に向けて、5 件が企業治験に移行する等、再生医療等製品の薬事承認に向けて、着実に進捗した。 「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」に引き続いて支援している「再生医療実用化研究事業」において、神戸アイセンター病院の高橋政代センター長らは、神戸中央市民病院（現、神戸市立神戸アイセンター病院）、大阪大学、京都大学 iPS 細胞研究所と連携し、目の難病である加齢黄斑変性を対象に、同種 iPS 細胞から作製した網膜色素上皮細胞を移植する臨床研究を完遂し、現在フォローアップ中である。今後、臨床研究や治験を積み重ね、加齢黄斑変性のみならず、網膜色素上皮の異常について対応可能な新たな治療法を提供することが可能になる。また、iPS 細胞から視細胞を含む網膜組織を作製し、網膜色素変性患者に移植する臨床研究についても計画中である。 「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」に引き続いて支 	<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"> 支援を行った研究が治験や薬事承認申請段階に進むなど、着実に進捗し、成果を積み上げていることは評価できる。 基礎研究を支援する事業から臨床研究・治験の支援をする事業への円滑な移行を目的として、「再生医療研究事業のマネジメントに関するチェック項目」を採択時の評価や進捗管理に活用したことは高く評価できる。当該チェック項目を活用することにより、事業間連携のさらなる強化につながる。 国内でのヒト細胞原料供給について、モデルとなる供 	<ul style="list-style-type: none"> 「再生医療等の産業化に向けた評価手法等の開発」において、大阪大学宮川特任教授ら研究グループは、大日本印刷株式会社と共同で、人工知能（AI）技術を応用した、再生医療等製品に対するマイコプラズマ否定試験を自動で判定する細胞画像解析ソフトを開発したことは評価できる。 ヒト iPS 細胞由来心筋細胞を用いた心毒性評価について、ICH（医薬品規制調和国際会議）の作業部会で国際標準化に向けて検討が行われることとなった。以上より、目標に設定した国際標準化の提案は達成され、高く評価できる。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。

	<p>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>援している「再生医療実用化研究事業」において、東京医科歯科大学再生医療研究センターの関矢一郎センター長らは、半月板損傷患者に自家滑膜幹細胞を移植する医師主導治験を実施し、再生医療等製品の製造販売承認申請に向け、準備中である。本治療法により、これまで対症療法しかなかった半月板切除術の適応となる半月板損傷患者に対して、新たな治療法を提供することが可能になる。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」に引き続いて支援している「再生医療実用化研究事業」において、京都大学 iPS 細胞研究所の高橋淳教授らは、平成 30 年 8 月より、京都大学医学部附属病院にて、医師主導治験を開始した。50 歳から 69 歳の 7 名のパーキンソン病患者を対象に、ヒト iPS 細胞由来ドパミン神経前駆細胞を移植し、移植後 2 年間の経過観察を行い、安全性と有効性を評価する予定である。本治験で安全性や有効性が確認できれば、病気が進行すると症状のコントロールが難しかったパーキンソン病患者の症状改善が可能となる。 ・「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」に引き続いて支援している「再生医療実用化研究事業」において、大阪大学大学院医学系研究科の西田幸二教授らは、世界で初めて、iPS 細胞から角膜上皮細胞シートを作成し、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。 ・再生医療の真の実現化のためには、再生医療のみならず、再生医療と並行して行うリハビリテーションを構築し、「失われた機能の再生」を目指すことが重要である。「再生医療実用化研究事業」において、慶應義塾大学医学部の中村雅也教授らは、脊椎損傷に対する再生医療と並行して、リハビリテーション治療の内容、プロトコルのあり方、効果測定方法の標準化を目指す臨床研究を計画し、平成 30 年 2 月の厚生科学審議会再生医療等評価部会から実施の承認を得た。 ・「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」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 	<p>給体制を構築していくことは、再生医療の産業化の基盤構築に資することが期待できる。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・開発された再生医療等製品の安全性・有効性等にかかる評価手法等が PMDA との一定の合意形成に達するなど着実に進展しており、評価出来る。 ・シーズ開発支援では、早期段階より戦略的な薬事対応を見据えた製造方法の確立や非臨床試験等を実施することで、再生医療シーズの産業化が加速することが期待できる。 	<p>＜今後の課題＞</p> <ul style="list-style-type: none"> ・本来使用しない試薬を使用した可能性が否定できないため、iPS 細胞中核拠点で構築を進める臨床用 iPS 細胞ストックの一部の供給を停止したが、その後に、ストック供給に向けた体制を十分に構築した上で供給を再開した。この経験を風化させることなく、教訓とし、今後のリスク管理に活かしていく必要がある。 ・研究開発成果の最大化に向けて、事業内連携、事業間の連携を引き続き進めていくことが求められる。特に、臨床研究・治験基盤事業部や PMDA とのより一層の連携が期待される。 ・引き続き、「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」において得られた開発候補品、評価系について、革新的医療技術創出拠点プロジェクト等、他の事業と積極的に連携し、実用化に向けて切れ目のない支援が着実に行われることが期待される。 ・「再生医療臨床研究促進基盤整備事業」の実施により、再生医療を促進する医療機関等を支援する基盤の構築がされつつあり、引き続き調整及び進捗管理が適切に進められることが求められる。 ・「再生医療実用化研究事業」においては、「再生医療実現プロジェクト」に基づき、文科省事業における基礎研究やシーズ 	
--	---	--	---	---	--	--

			<p>い重症心不全に対して新しい治療となる可能性がある。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 「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。 ・ 再生医療の真の実現化のためには、再生医療のみならず、再生医療と並行して行うリハビリテーションを構築し、「失われた機能の再生」を目指すことが重要である。「再生医療実用化研究事業」において、慶應義塾大学医学部の中村雅也教授らは、脊椎損傷に対する再生医療と並行して、リハビリテーション治療の内容、プロトコルのあり方、効果測定方法の標準化を目指す臨床研究を計画し、平成 30 年 2 月の厚生科学審議会再生医療等評価部会から実施の承認を得た。 ・ 「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」で基礎研究を行った研究課題を臨床研究・治験の段階に円滑に移行することを目的として、臨床移行に必要な準備等をまとめた「再生医療研究事業のマネジメントに関するチェック項目」を作成し、平成 30 年 5 月の AMED 理事会・部長会議で承認された。「再生医療実用化研究事業」における採択時の評価及び進捗管理に活用した。 ・ 「製薬協・AMED 共催セミナー『花開け！再生医療のシーズ』（平成 30 年 7 月）を開催し、実用化に向けて再生医療のシーズをアカデミアから製薬企業にスムーズに受け渡すために必要なことについて、アカデミアと製薬企業等産業界でディスカッションを行った。この結果をもとに、令和元年度から新たな産学連携課題を開始する。また、令和元年度には、早期の段階でマーケティングやターゲットの検討を行い、アカデミアのシーズをより企業にとって魅力的なシーズとするため、アカデミアの研究者を対象とした相談会を実施した。 ・ 「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や出張相談会（高知大学）を開催した。 		<p>の発掘等の推進により、非臨床段階から臨床段階へ移行した課題について、切れ目なく支援を行い、引き続き臨床研究等を推進していくことが期待される。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・ 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。 	
--	--	--	---	--	--	--

			<p>■細胞の採取から臨床応用までの効果的、効率的な手順等の確立に向けた研究</p> <ul style="list-style-type: none"> ・「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」（再生医療実現化プロジェクト）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。基礎研究、非臨床試験から臨床研究に移行する研究等に対して、継続して支援していく。 <p>■再生医療等製品の安全性評価手法の開発</p> <ul style="list-style-type: none"> ・再生医療における品質・安全性評価手法の開発に向けた取組として、医薬品等規制科学課の医薬品等規制調和・評価研究事業と連携しながら、「再生医療研究における品質及び安全性の評価に係る調査研究」（平成28年度～平成30年度）の研究課題を実施した。本研究では、再生医療研究課が所管する4事業の144課題から抽出したデータをもとに調査研究を実施し、成果を研究課題にフィードバックし、課題管理に活用した。 <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"> ・国内でヒト細胞原料を安定的に供給するため、「国内医療機関からのヒト（同種）体性幹細胞原料の安定供給モデル事業」では、ヒト細胞原料の供給にかかる体制整備に向けた研究を平成30年度より開始した。また本事業に併走して、ヒト細胞原料供給に関わる法的・倫理的な課題等を議論する有識者からなる検討委員会を設置し、3回委員会を開催し、細胞取得のために必要なIC等、優先項目について議論した。平成31年度（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）については、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）。 ・「再生医療等の産業化に向けた評価手法等の開発」では、個々の再生医療等製品の開発における安全性や有効性に関する評価手法の確立や、製造工程合理化の検討等を行っている。平成30年度は、7課題の再生医療等製品の開発における品質評価手法に 			
--	--	--	--	--	--	--

			<p>関する規制当局の見解や開発のプロセス等について、公開の成果報告会（2月19日、大手町プレイスカンファレンスセンター）において公表した。また、事業終了後、実施者により作成された事業報告書は、機構ホームページ等において広く公開される予定である。これらの取組を通して、後続の再生医療等製品の実用化のための基盤整備が促進されることが期待される。</p> <p>主な成果としては、大日本住友製薬株式会社が代表者を努めるパーキンソン病のiPS細胞由来神経細胞製剤の開発において、共同研究者である日立製作所が開発したiPS細胞大量自動培養装置が、GCTP省令に適合した製品製造が可能な装置（「iACE2」）として国内で初めて製品化した。また、大阪大学宮川特任教授ら研究グループは、大日本印刷株式会社と共同で、人工知能（AI）技術を応用した、再生医療等製品に対するマイコプラズマ否定試験を自動で判定する細胞画像解析ソフトを開発した。</p> <ul style="list-style-type: none"> 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。 <p>■国際標準化機構（ISO）での再生医療に関する検討</p> <ul style="list-style-type: none"> 「再生医療の産業化に向けた細胞製造・加工システムの開発」では、細胞製造プロセスの構築に加え、細胞製造システムに関連するISO/TC276/WG4（Bioprocessing）及びISO/TC198/WG9（Aseptic processing）において、日本発提案を日本主導で国際標準化のステージを着実に進めた。また、再生医療等製品製造工程管理に大きく影響する細胞数／品質管理の国際標準化戦略を考慮し、ISO/TC276/WG3（Analytical methods）へも日本発の関連文書提案を進めた。 			
<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</p>	<p><評価軸></p> <ul style="list-style-type: none"> 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 	<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"> 「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」のなかで、平成29年度から開始した「疾患特異的iPS細胞の利活用促進・難病研究加速プログラム」において、研究拠点（14件）、1件のiPS細胞樹立課題（健常人のiPS細胞樹立・寄託）を採択し、支援・ 	<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"> 疾患特異的iPS細胞を活用した創薬研究において、我が国で世界初となる治験が 		

	<p>ンクへの寄託を行い、バンクの機能充実を図るとともに、多くの研究者、企業等が創薬等研究を実施できる基盤を構築し、疾患の病因や病態解明を行う研究、創薬を視野においた治療法の開発を目指す研究を推進する。</p>	<p>たか。</p> <p><モニタリング指標></p> <ul style="list-style-type: none"> ・左記の評価軸に係る取組状況等 	<p>進捗管理を行った。</p> <p>これまでの成果は以下となる。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・進行性骨化性線維異形成症 (FOP) への医師主導治験 (平成 29 年度) ・筋萎縮性側索硬化症 (ALS) への医師主導治験 (平成 30 年度) ・Pendred 症候群 (難聴やめまい、甲状腺腫を引き起こす遺伝性の希少難治性疾患) への医師主導治験 (平成 30 年度) が開始された。また、京都大学 iPS 細胞研究所 井上治久教授らは、「疾患特異的 iPS 細胞を活用した難病研究 (旧プログラム)」等の支援を受け、疾患特異的 iPS 細胞を用いたスクリーニングを行った結果、ALS への治験を開始した。 ・骨形成不全症、筋萎縮性側索硬化症 (ALS)、先天性ネフローゼ症候群等の疾患特異的 iPS 細胞によって、治療に結びつく病態解明や創薬候補に関する知見が得られた。 <p>・多くの研究者・企業に活用される環境を整備するために 1 件のバンク活用促進課題を採択し、疾患特異的 iPS 細胞等の寄託を受けるバンクの運営体制を構築した。その結果、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 細胞を提供した (令和元年度 12 月現在)。また寄託された疾患特異的 iPS 細胞のリストを平成 30 年 1 月にウェブ上で一般公開した。</p>	<p>開始されたことは、評価できる。</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標準化への対応を促進する。</p>	<p><評価軸></p> <ul style="list-style-type: none"> ・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。 <p><モニタリング指標></p> <ul style="list-style-type: none"> ・左記の評価軸に係る取組状況等 	<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"> ・医薬品等規制調和・評価研究事業において、iPS 細胞技術を応用したヒト心筋細胞を用いて開発した心毒性評価法については、産官学が協力した研究班で検証試験等を実施し、iPS 心筋はヒト心電図データを反映すること、精度よく催不整脈リスクを予測できることを明らかにした。また、国際検証試験に参加して、FDA とともに iPS 心筋の評価系に関して再現性や有用性を明らかにし、iPS 心筋の best practice に関する white paper をまとめている。また、<i>in silico</i>での best practice に関する white paper については、2019 年 9 月に論文として受理された。国内外の検証試験等の進捗状況を国際会議などで発表、提案し、国際標準化に向けて国際的な議論を行った。さらに、2018 年 11 月に開催された ICH において、S7B 及び E14 ガイドラインに関する作業部会が設置され、ヒト iPS 細胞由来心筋細胞等を用いた新しいアプローチの利用可能性を検討することがコンセプトペーパーに記載された。 	<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"> ・心毒性評価系の国際検証試験等を実施し、国際共著論文が採択され、その成果をもって国際的な議論を行うなど、着実に成果を積み上げていることは評価できる。 		

<p>さらに、幹細胞による創薬支援の実現化を支える産業基盤を構築する。</p>	<p>さらに、創薬プロセスにおける安全性評価に活用可能な、幹細胞を用いた創薬スクリーニングシステムの開発等により、創薬支援の実現化に向けた産業基盤の構築を支援する。</p>	<p><評価軸></p> <ul style="list-style-type: none"> ・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。 <p><モニタリング指標></p> <ul style="list-style-type: none"> ・左記の評価軸に係る取組状況等 	<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"> ・「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」のサブプログラムとして、平成29年度から「疾患特異的iPS細胞の利活用促進・難病研究加速プログラム」を開始し、研究拠点（14拠点）、iPS細胞樹立課題（健常人のiPS細胞樹立・寄託）、バンク活用促進課題（iPS細胞の活用される環境整備）を採択した。 また、多くの研究者・企業に活用される環境を整備するために1件のバンク活用促進課題を採択し、疾患特異的iPS細胞等の寄託を受けるバンクの運営体制を構築した。その結果、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細胞を提供した（令和元年度12月現在）。また寄託された疾患特異的iPS細胞のリストを平成30年1月よりウェブ上で一般公開している。 ・「再生医療技術を応用した創薬支援基盤技術の開発」では、これまでのiPS細胞研究の成果を活用し、iPS細胞等から分化誘導した各種臓器細胞をチップ等のデバイス上に搭載することで、医薬品候補化合物の安全性や薬物動態等の評価が可能な新たなシステムの基盤技術を開発している。ユーザー（製薬企業）ニーズを踏まえ、デバイスのプロトタイプを開発すると共に、iPS細胞由来の各種臓器細胞の高機能化を図る等、要素技術の開発を進める。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。 	<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"> ・バンク機関としての機能が定着し、寄託数、提供数とも着実に伸びてきており、創薬支援の実現化を支える技術基盤が構築されてきていることは評価できる。 ・候補化合物の安全性や動態を評価する技術として、ユーザーとして想定しうる医薬品企業等も巻き込んだ上で研究を進めており、評価出来るものである。 		
<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"> ・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 	<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"> ・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 	<p><評価指標></p> <p>【2020年までの達成目標】</p> <ul style="list-style-type: none"> ・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 	<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"> ・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）： 患者の細胞から作成したiPS細胞を誘導し、目的の細胞を再現することに成功したことにより、病態解明や治療薬候補化合物の探索を行うことが出来るようになった。これにより、これまで治療が困難と思われてきた疾患への治療薬候補の探索が容易になり、いくつかの疾患に対して、治験が開始された。① 京都大学 iPS 細胞研究所 戸口田教授らグループが行った、進行性骨化性線維異形成症（FOP）へのリンパ脈管筋腫症の治療で使用 			

<p>の薬事承認数の増加</p> <ul style="list-style-type: none"> 臨床研究又は治験に移行する対象疾患の拡大35件 再生医療関係の周辺機器・装置の実用化 iPS細胞技術を応用した医薬品心毒性評価法の国際標準化への提言 <p>を目指すものとする。</p>	<p>の薬事承認数の増加</p> <ul style="list-style-type: none"> 臨床研究又は治験に移行する対象疾患の拡大35件 再生医療関係の周辺機器・装置の実用化 iPS細胞技術を応用した医薬品心毒性評価法の国際標準化への提言 <p>を目指すものとする。</p>	<p>加</p> <ul style="list-style-type: none"> 臨床研究又は治験に移行する対象疾患の拡大 35 件 再生医療関係の周辺機器・装置の実用化 i P S 細胞技術を応用した医薬品心毒性評価法の国際標準化への提言 <p><モニタリング指標></p> <ul style="list-style-type: none"> 応募件数及び採択件数 事業に参画している研究者延べ人数 PMDA への薬事戦略相談を行った研究開発課題数 機動的な研究推進のため年度内に契約変更を実施した課題数 	<p>されているシロリムスの治験をはじめ、② 慶應義塾大学医学部耳鼻咽喉科学教室の小川郁教授、藤岡正人専任講師らが生理学教室（岡野栄之教授）との共同研究の上で、Pendred 症候群に対する、シロリムスの治験の実施、③ 慶應義塾大学病院神経内科診療科部長の中原仁教授、診療科副部長の高橋慎一准教授らが生理学教室（岡野栄之教授）との共同研究の上で、ALS へのロピニロール塩酸塩の治験を開始、④京都大学 iPS 細胞研究所 井上治久教授らによる、疾患特異的 iPS 細胞を用いたスクリーニングにより、ALS へのボスチニブの治験を開始した。</p> <ul style="list-style-type: none"> 再生医療等製品の薬事承認数： これまで承認された① ヒト（自己）表皮由来細胞シート（「ジェイス」（株式会社ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング）「重症熱傷」）、② ヒト（自己）軟骨由来組織（「ジャック」（株式会社ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング）「膝関節の外傷性軟骨欠損症と離断性骨軟骨炎（変形性膝関節症を除く）」）に加え、H27 年度に③ 条件・期限付承認としてヒト（自己）骨格筋由来細胞シート（「ハートシート」（テルモ株式会社）「虚血性心疾患」）、④ ヒト（同種）骨髄由来間葉系幹細胞（「テムセル HS 注」（JCR ファーマ株式会社 「GVHD」）、H28 年度に ⑤ 適応追加としてヒト（自己）表皮由来細胞シート（「ジェイス」（株式会社ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング）「先天性巨大色素性母斑」）、H30 年度に⑥ 条件・期限付承認としてヒト（自己）自己骨髄間葉系幹細胞「ステミラック注」（ニプロ株式会社）「脊髄損傷」）、⑦追加適応としてヒト（自己）表皮由来細胞シート（「ジェイス」（株式会社ジャパン・ティッシュ・エンジニアリング）「表皮水疱症」が、⑧ チサゲンレクルユーセル（「キムリア点滴静注」（ノバルティスファーマ株式会社）「B 細胞性急性リンパ芽球性白血病」及び「びまん性大細胞型 B 細胞リンパ腫」）⑨ ベペルミノゲン ペルプラスミド（「コラテジェン筋注用 4mg」（アンジェス株式会社）「慢性動脈閉塞症」）が条件・期限付きで承認された。なお、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）「角膜上皮幹細胞疲弊症」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に希少疾病用再生医療等製品への指定が了承された。 臨床研究又は治験に移行する対象疾患の拡大： 「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」、「再生医療実用化研究事業」等で推進する研究開発について、累計で 47 件（対象疾患数：41 疾患）となった。 <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 2013年度：5件、2014年度：2件、2015年度：1件、2016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 2013年度：4件、2014年度：6件、2015年度：3件、2016年度：6件、2017年度：3件、2018年度：11件、2019年度：5件 (内1件は、臨床研究から治験への移行)</p> <ul style="list-style-type: none"> 再生医療関係の周辺機器・装置の実用化の状況： 経済産業省「再生医療の産業化に向け評価基盤技術開発事業」からは① 日立製作所が iPS 細胞自動培養装置を、② 大陽日酸株式会社は小型でドライアイス不要の生体試料搬送容器 CryoHandy を実用化、販売開始した。また、③ リプロセルが実用化した DMSO フリータイプの細胞凍結保存液が、薬機法に基づく原薬等登録名簿(マスターファイル)に登録され、④ 生物由来原料基準をクリアし、再生医療向けとして臨床実験に使用可能なヒト iPS 細胞用培養液「ReproMed™ iPSC Medium」を発売開始した。また、⑤ 富士フイルムは、公立大学法人名古屋市立大学の松永 民秀教授が開発した腸管上皮細胞への分化誘導技術を用いたヒト iPS 細胞由来腸管上皮細胞「F-hiSIEC™ (エフーハイシーク)」を発売した。 文科省「再生医療実現拠点ネットワークプログラム技術開発個別課題」からは、マトリクスが⑥-1 細胞培養基質のラミニンの高純度精製品 iMatrix-411、⑥-2 希釈操作が不要な Easy iMatrix-511、⑥-3 Easy iMatrix-511 をコーティングプレート化した Quick iMatrix-511 を実用化・販売開始した。⑦和光純薬工業が、名古屋大学にて開発した「幹細胞標識用超低毒性量子ドット」を「Fluclair™」として商品化した。 iPS 細胞技術を応用した医薬品心毒性評価法の国際標準化への提言の状況： 国内の大規模検証試験により、ヒト iPS 細胞由来心筋細胞はヒト心電図データを反映すること、精度よく不整脈リスクを予測できることを明らかにした。また、国際検証試験に参加して、米国 FDA とともにヒト iPS 細胞由来心筋細胞の評価系に関して再現性や有用性を明らかにした。国内外の検証試験等の進捗状況を国際会議などで発表、提案し、国際標準化に向けて国際的な議論を行った。さらに、2018年11月に開催された ICH において、S7B 及び E14 ガイドラインに関する作業部会が設置され、ヒト iPS 細胞由来心筋細胞等を用いた新しいアプローチの利用可能性を検討することがコンセプトペーパーに記載され 			
--	--	--	--	--	--	--

た。国際コンソーシアムや ICH 作業部会等と連携しながら、引き続き、検討を進めている。また、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。

	H27 年度	H28 年度	H29 年度	H30 年度	R01 年度	合計
○応募件数	62	231	228	265	274	1,060 件
○採択件数	39	42	79	65	37	262 件
○事業に参画している研究者延べ人数	400	900	3,200	3,300	2,800	10,600 人
○PMDA への薬事戦略相談を行った研究開発課題数	46	30	30	27	23	156 件
○機動的な研究推進のため年度内に契約変更を実施した課題数	24	45	45	55	68	237 件

<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主務大臣評価を踏まえた課題>

■指摘事項

・本来使用しない試薬を使用した可能性が否定できないため、iPS 細胞中核拠点で構築を進める臨床用 iPS 細胞ストックの一部の供給を停止したが、その後に、ストック供給に向けた体制を十分に構築した上で供給を再開した。この経験を風化させることなく、教訓とし、今後のリスク管理に活かしていく必要がある。

【対応状況】

・CiRA における製造方法の改善や教育訓練強化など品質の向上を図る取組みが適切に実施されているか、サイトビジット、進捗ヒアリング、年度末報告書、拠点長会議等で随時確認することで、指摘事項への対応を進めた。

■指摘事項

・研究開発成果の最大化に向けて、事業内連携、事業間の連携を

			<p>引き続き進めていくことが求められる。特に、臨床研究・治験基盤事業部やPMDAとのより一層の連携が期待される。</p> <p>【対応状況】</p> <ul style="list-style-type: none"> ・交流会の場を活用して、機構内の情報共有を進め、また臨床研究・治験基盤事業部、医薬品規制課、PMDAと密に情報交換を実施した。 <p>■指摘事項</p> <ul style="list-style-type: none"> ・引き続き、「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」において得られた開発候補品、評価系について、革新的医療技術創出拠点プロジェクト等、他の事業と積極的に連携し、実用化に向けて切れ目のない支援が着実に進められることが期待される。 <p>【対応状況】</p> <ul style="list-style-type: none"> ・令和元年度春のAMED調整費において、難治性疾患実用化研究事業の希少難病の研究者と再生医療実現化ネットワーク事業の疾患 iPS 活用研究者との共同研究を実施するためのマッチングを行った。また、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」公募課題として、研究者マッチング・共同研究促進課題を設定した。 <p>■指摘事項</p> <ul style="list-style-type: none"> ・「再生医療臨床研究促進基盤整備事業」の実施により、再生医療を促進する医療機関等を支援する基盤の構築がされつつあり、引き続き調整及び進捗管理が適切に進められることが求められる。 <p>【対応状況】</p> <ul style="list-style-type: none"> ・「再生医療臨床研究基盤整備事業」事業運営委員会にAMED事務局として3回出席し、研究計画、予算計上やその用途等について状況把握に努めた。課題研究者と事業PDPSP0、厚労省等の同席のもとステアリングコミティを準備し、指摘事項への対応を薄めている。 <p>■指摘事項</p> <ul style="list-style-type: none"> ・「再生医療実用化研究事業」においては、「再生医療実現プロジェクト」に基づき、文科省事業における基礎研究やシーズの発掘等の推進により、非臨床段階から臨床段階へ移行した課題について、切れ目なく支援を行い、引き続き臨床研究等を推進していくことが期待される。 <p>【対応状況】</p> <ul style="list-style-type: none"> ・再生医療実現プロジェクト内の臨床研究・治験実施を目指す課題については、引き続き、臨床段階に移行するために必要なデー 			
--	--	--	---	--	--	--

			<p>タ・規制等を取りまとめた「再生医療研究事業のマネジメントに関するチェック項目」(平成30年度に作成)を臨床研究等への移行準備状況の確認に活用することにより、臨床研究等への確実な移行を促進することで、切れ目ない支援を行った。また、公募においても本稿を利活用した。さらに、文科省事業における基礎研究やシーズの発掘等の推進する課題のヒアリング・サイトビジット等に厚労事業担当者も同席し、切れ目ない支援が実施できるよう課題内容の把握に努めた。</p> <p>■指摘事項</p> <ul style="list-style-type: none"> 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。 <p>【対応状況】</p> <ul style="list-style-type: none"> 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。 			
--	--	--	---	--	--	--

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 2018（平成 30 年 5 月 29 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 2018（平成 30 年 5 月 29 日健康・医療戦略推進本部決定） 政策評価・行政事業レビュー（内閣府 0034、文部科学省 0244、復興-0056、厚生労働省 889-5）

2. 主要な経年データ												
① 主な参考指標情報							② 主要なインプット情報（財務情報及び人員に関する情報）					
	基準値等	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）	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の予測診断の確立、うつ・認知症	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

ゲノム医療に係る臨床研究の開始、神経・筋難病等の革新的な診断・治療法の開発 (2020年頃まで)													
---	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--	--

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

注2) 上記以外に必要な情報があれば欄を追加して記載しても差し支えない

3. 中長期目標、中長期計画、年度計画、主な評価軸、業務実績等、年度評価に係る自己評価及び主務大臣による評価

中長期目標	中長期計画	主な評価軸 (評価の視点)、指標等	法人の主な実績等・自己評価		主務大臣による評価			
			主な業務実績等	自己評価	(見込評価)		(期間実績評価)	
					評価	A	評価	
急速に進むゲノムレベルの解析技術の進展を踏まえ、疾患と遺伝的要因や環境要因等の関連性の解明の成果を迅速に国民に還元するため、解析基盤の強化を図るとともに、特定の疾患の解明及びこれに対する臨床応用の推進を図る。その際、ゲノム医療の実現には時間を要することから、長期的視点に立って戦略的に推進する。具体的には、疾患	急速に進むゲノムレベルの解析技術の進展を踏まえ、疾患と遺伝的要因や環境要因等の関連性の解明の成果を迅速に国民に還元するため、解析基盤の強化を図るとともに、特定の疾患の解明及びこれに対する臨床応用の推進を図る。その際、ゲノム医療の実現には時間を要することから、長期的視点に立って戦略的に推進する。具体的には、疾患	<p><評価軸></p> <ul style="list-style-type: none"> ・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。 <p><モニタリング指標></p> <ul style="list-style-type: none"> ・左記の評価軸に係る取組状況等 	<p><主要な業務実績></p> <ul style="list-style-type: none"> ■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） 健常者の生体試料・健康情報等の収集と分譲 ・同意に基づき宮城県・岩手県の住民から生体試料及び健康情報（調査票）を収集するコホート調査を行い、これら試料・情報を広く全国の研究者の医学研究への利活用のために提供するバイオバンクを構築した。平成28年度末までに、当初からの目標であった15万人規模（宮城県12万人、岩手県3万人、うち、地域住民コホート8万人、三世代コホート7万人）の研究参加者のリクルートは計画通りに完了している。さらに、平成29年からは、追跡・詳細二次調査を開始し、令和元年度末までに、宮城県で約6万人、岩手県で約2万人の二次調査を完了した。 ・試料・情報分譲については、令和元年度末時点の累計で、分譲32件、共同研究138件、商用利用2件が承認された。また、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。 ・オミックス情報についても1.5万人超の解析を進め、解析代謝物の種類を大幅に拡張して、jMorpで公開した。これにより、代謝物の分布が飛 	<p><評価と根拠></p> <p>評価：A</p> <p>東北メディカル・メガバンク計画の成果である健常人全ゲノムリファレンスパネルを未診断疾患に活用すること等によるゲノム診断の飛躍的加速の実現、国内外のデータシェアリング推進のための国際連携とデータシェアリングポリシーの拡充など他事業連携・情報共有・成果の利活用を促進するとともに、日本人ヒトゲノムの新規データベースの整備・拡充を行うなど、疾患関連遺伝子の同定や日本人の標準ゲノム配列の特定に加え、データシェアリングの策定及び適用事業の拡大やゲノム医療情報の国際標準化への新たな取組などを行い目標を大きく上回った。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</p>	<ul style="list-style-type: none"> ・中長期目標・計画の実施状況については、東北メディカル・メガバンク計画の成果である健常人全ゲノムリファレンスパネルを未診断疾患に活用すること等により、ゲノム診断が飛躍的に加速するとともに、日本人標準ゲノム配列(JRGA)の初版JG1の公開により、日本人特有の疾患感受性等の研究の基盤を構築した。また、国内外のデータシェアリング推進のための国際連携とデータシェアリングポリシーの拡充など他事業連携・情報共有・成果の利活用を促進した。さらに、日本人ヒトゲノムの新規データベースの整備・拡充を行うなど、疾患関連遺伝子の同定や日本人の標準ゲノム配列の特 			

<p>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>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>躍的に高精度となり、参照パネルとしての信頼性を大幅に向上させ、令和元年度には、前年度比 2.7 倍の jMorP 利用実績を得た。</p> <p><u>日本人標準ゲノム配列の特定</u></p> <ul style="list-style-type: none"> 日本人標準ゲノム配列を特定することは、日本人特有のゲノム配列も考慮したゲノム解析ができる基盤として極めて重要であり、平成 30 年度にはこれまで全ゲノム解析に広く利用されてきた国際基準ゲノム配列の問題点を根本的に解決した日本人基準ゲノム配列 (JRGA) の初版となる JG1 構築に成功し、2 月に公開した。 コホート調査参加者の全ゲノム解析を進め、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)。また、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、全バージョン公開時の 2 倍相当の約 200 件程度のダウンロードがあった。さらに、研究コミュニティから問い合わせの多かったゲノムの挿入・欠損配列 (insertion and deletion : Indel) の頻度情報、1 塩基ごとの平均深度データ、変異情報をタンパク質立体構造上にマッピングするツール、全ゲノム解析済み約 4000 人のゲノム解析レポジトリ情報等を公開した。 安価な全ゲノム復元技術開発として、令和元年度末までに累積で約 12 万人のジャポニカアレイ解析を進めるとともに、平行してインピュテーションによる疑似全ゲノム情報を作成し、公開を進めた。 <p><u>疾患研究等での活用</u></p> <ul style="list-style-type: none"> 東北メディカル・メガバンク機構の提供する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 4,600 家系以上の未診断状態の患者のゲノム解析が加速した。 「失われた遺伝率の問題」を克服する手法の 1 つである polygenic risk model を開発し (iPGM)、BBJ が収集した脳梗塞患者とコホート連携の健常人データを利用して脳梗塞発症リスク法を開発した。さらに令和元年度には久山町コホートと連携して、脳梗塞 iPGM の前向きコホートでの検証を行い、個別化予防における iPGM の有用性を示した。 エピゲノム解析の標準化およびデータ分譲のため、多目的コホート研究 	<p>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>【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】</p> <ul style="list-style-type: none"> 健常者バイオバンクの構築については、東北メディカル・メガバンク計画において、すでに構築済みの 15 万人規模の健常者バイオバンクに加え、追跡・詳細二次調査を計画通り実施、日本人の全ゲノムリファレンスパネルを 4.7KJPN にまで拡充、日本人のゲノム研究に欠くことのできない日本人基準ゲノム配列 JG1 の公開など着実に取組を実施した点は高く評価できる。 BBJ、NCBN と連携し、メタボローム解析の世界標準化およびデータ分譲への取組に加え、バイオバンクの試料・情報の利活用の一環としてセキュリティは担保しつつも積極的に各種データ分譲対象の拡大や解析ツール等の公開を実施しており、新たなバイオバンクの在り方として非常に先導的であり評価できる。 	<p>定に加え、データシェアリングの策定及び適用事業の拡大やゲノム医療情報の国際標準化への新たな取組などを行い、目標を大きく上回った。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ため、評定を A とする。</p> <ul style="list-style-type: none"> 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、追跡・詳細二次調査の実施、生体試料・健康情報の分譲等を着実に実施した。また、日本人の全ゲノムリファレンスパネルを 3.5KJPNv2 にまで拡充することにより、疾患ゲノム診断が飛躍的に加速した。さらに、日本人のゲノム研究に欠くことのできない日本人基準ゲノム配列 JG1 の公開により、日本人全ゲノムリファレンスパネルの精度向上、日本人特有の疾患感受性や薬剤感受性に寄与するゲノム配列変化の解明に寄与した点は高く評価できる。 さらに、BBJ、NCBN と連携し、メタボローム解析の世界標準化およびデータ分譲への取組に加え、バイオバンクの試料・情報の利活用の一 	
---	--	--	---	---	---	--

		<p>(JPHC Study)、日本多施設共同コホート研究 (J-MICC STUDY)、久山町研究、山形大学分子疫学コホート研究、鶴岡みらい健康調査、バイオバンク・ジャパン (BBJ)、ナショナルセンターバイオバンクネットワーク (NCBN) と連携し、異なる検体処理方法による影響を補正する手法を開発した。</p> <ul style="list-style-type: none"> 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、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、令和元年度は 240 件について医療機関での治療につなげるなどした。 <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> <p><u>DNA・臨床情報の収集による患者のバイオバンクの構築</u></p> <ul style="list-style-type: none"> 東京大学医科学研究所のバイオバンク・ジャパン (BBJ) では、平成 25 年度から平成 29 年度末までに、12 医療機関の協力を得て、38 疾患について患者より DNA 及び臨床情報を収集し (第 2 コホート)、バイオバンクの利活用促進に貢献している。 <p>(平成 25 年度から平成 29 年度末の累計同意取得数: 68, 516 件、DNA 採取数: 67, 334 件)</p> <p><u>バイオバンクの利活用の促進</u></p> <ul style="list-style-type: none"> 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>【患者のバイオバンクの構築】</p> <ul style="list-style-type: none"> 疾患バイオバンクとして、患者の DNA・臨床情報や生体試料の収集を着実に進め、品質の向上にも取り組むとともに、平成 30 年度からは、ゲノム研究バイオバンク事業として、試料・情報の一層の利活用促進を通じたゲノム研究の推進を図っており、評価できる。 <p><今後の課題></p> <ul style="list-style-type: none"> 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の助言を受けながら、条件の検討を行っていく。 	<p>環としてセキュリティは担保しつつも積極的に各種データ分譲対象の拡大や解析ツール等の公開を実施しており、新たなバイオバンクの在り方として非常に先導的であり評価できる。</p> <ul style="list-style-type: none"> 疾患バイオバンクについては、オーダーメイド医療の実現プログラムにおいて、平成 29 年度末までに患者の DNA・臨床情報を収集し、平成 30 年度からはゲノム研究バイオバンク事業として、バイオバンク・ジャパンの試料・情報をユーザーへ効果的に分譲するためのデータベースや検索システムの開発と運用を開始しており、ゲノム医療研究の推進に貢献していると評価できる。 ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業においては、家族性ミオクローヌス てんかん罹患者の疾患原因遺伝子の解明、2 型糖尿病に関わる日本人に特有の変異の同定など、順調に進捗している。 東北メディカル・メガバンク計画において、未診断疾患イニシアチブ (IRUD) 診療体制と連携し、IRUD 全体で 2700 例以上の未診断疾患に対し、半年以内に解析結果 	
--	--	--	--	--	--

		<p>・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。</p> <p><u>病理組織検体の品質管理に向けた取組</u></p> <ul style="list-style-type: none"> ・東京大学医学部附属病院病理部に設置されているゲノム病理標準化センターにおいて、ゲノム研究のための質の高い病理組織検体の採取法・バンキングのためのプロトコール（「ゲノム研究用病理組織検体取扱い規程」）の講習会を開催し、品質管理に向けた取組を推進した。（平成 27 年度～平成 29 年度） <p><u>血清・血漿検体の品質評価に向けた取組</u></p> <ul style="list-style-type: none"> ・平成 29 年度に、バイオバンク・ジャパンに収集された血清検体の採血から保存までの管理状態、保存状態を評価するため、東北メディカル・メガバンク計画および NCBN と連携して、プロテオミクスを用いた新規安定性マーカーとそれを利用した評価手法を開発した。評価手法の開発にあたっては、日本製薬工業協会の意見を聴取し手法へ反映した。 <p>■ゲノム研究プラットフォームの構築</p> <ul style="list-style-type: none"> ・政府のゲノム医療実現推進協議会「中間とりまとめ」（平成 27 年 7 月）を受け、「AMED ゲノム医療研究支援機能」を始動し、その一環として、バイオバンク等の利活用の促進に向け、次の取組を行った。 <p><u>データシェアリングの推進</u></p> <ul style="list-style-type: none"> ・ゲノム情報を用いた医療の実現に向け、平成 28 年度にデータシェアリングポリシーを策定し、「疾病克服に向けたゲノム医療実現化プロジェクト」の新規公募課題より、研究の計画等に加え、ゲノムデータの制限共有、制限公開、非制限公開等を記載したデータマネジメントプランの提出を義務づけた。令和 2 年度からは、ゲノム・データ基盤プロジェクトが立ち上がることを踏まえ、「ゲノム・データ基盤プロジェクト」に含まれる研究事業のうちゲノム情報を生成する研究事業、その他AMEDが指定する研究事業を対象にデータシェアリングポリシーを適用できるよう、令和元年 10 月にデータシェアリングポリシーの改定を行った。 ・データシェアリングの推進の一環として、研究成果に紐づくゲノムデータ等の迅速、広範かつ適切な共有・公開を推進していくため、JST バイオサイエンスデータベースセンター（NBDC）、国立遺伝学研究所 DDBJ センターの協力の下、ゲノムデータ等を制限共有データベースとして構築した AGD（AMED Genome group sharing Database）の運用を通じて、全ゲノム情報等の利活用を進めた 	<p>【ゲノム研究プラットフォームの構築】</p> <ul style="list-style-type: none"> ・研究支援に特化した活動を効果的に展開するため、有識者によるモニタリング・ボード及び分科会を核とする PDCA 実施体制を構築し、運用を開始した点は評価できる。 ・ゲノム医療研究支援として、バイオバンクの一覧をはじめ、研究基盤となる「バイオバンク」「情報」「ELSI」それぞれの整備に尽力している研究者にも注目する情報ポータルサイトを構築したことも評価できる。 	<p>を返却することが可能となった。また、臨床ゲノム統合データベース整備事業において、がん領域で開発した「NCC オンコパネル」が体外診断用医薬品・医療機器として平成 30 年 12 月に製造販売承認を取得するなど、難治性・希少性疾患等の原因遺伝子の探索が着実に進められていることは評価できる。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・臨床ゲノム情報統合データベース整備事業では、クリニカルシーケンスにより見いだされた疾患感受性バリエーション情報を疾患横断的に集約した統合データベース MGeND (Medical genomics Japan Variant Database) を構築し、本事業で採択された疾患領域別の研究開発課題（希少・難治性疾患領域、がん領域、感染症領域、認知症・その他領域）において行われたゲノム解析結果を登録、日本人の疾患感受性バリエーション情報を公開しており、着実に進められていることは評価できる。 ・ゲノム創薬基盤推進研究事業では、チオプリン製剤に対する不耐患者を判別するための遺伝子検査キットの開発を行い、2018 年 4 月に体外診断用医薬品として製造販売承認を取得、7 月に販 	
--	--	---	---	---	--

		<ul style="list-style-type: none"> ・国際的なデータシェアリングによる疾患解明を進めるため、ゲノム情報の国際標準化とデータシェアリングを目的とした国際活動であるGA4GH (Global Alliance for Genomics & Health) との協力を「GEM-Japan」プロジェクトとして進め、平成31年2月より、GA4GHの基幹プロジェクトとして、GEM-Japanが参画し、国際的なデータシェアリングの加速に貢献した。 ・データシェアされるゲノムデータの利活用を促進するため、大量のゲノムデータを高速に解析するための電算資源の整備（東北メディカル・メガバンク機構に設置）を進めるとともに、同電算資源の共用利用等を継続して行い、令和元年度末までに合計10件の利用があった。また、上述のGEM-Japanの活動の一環として、JST/NBDC等の協力を得て進めた「10Kプロジェクト」では、同電算資源を用いて、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した。 <p><u>バイオバンク連携</u></p> <ul style="list-style-type: none"> ・ゲノム医療実現に向けた研究の推進のため、バイオバンク横断的な試料・情報の利活用促進環境を整備し、オールジャパンのプラットフォームを構築することを目的として、ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業において、ゲノム研究プラットフォーム利活用システムの公募を行い、5課題を採択した。3大バイオバンク（BBJ、TMM、NCBN）を中心に、それらを補完する特色を持った中核的な大学病院等の診療機関併設バイオバンクのネットワーク化を実現し、試料・情報の横断的な検索及び標準的かつ効率的な利用手続きを可能とすることにより、研究基盤としての利活用環境を整備する事を目指しており、令和元年10月にはバイオバンクサンプルの横断検索システムを公開した。 <p><u>研究者間の情報共有の促進</u></p> <ul style="list-style-type: none"> ・研究基盤と研究者をつなぐため、国内のバイオバンク・コホートの保管試料の種類や量等を一覧表示する機能や、その他情報基盤、ELSI関係の情報発信機能等を備えた情報ポータルサイトを、平成29年4月に開設し、運用を進めたほか、バイオバンクと研究者が一堂に会したバイオバンク連絡会を累計9回開催した。 ・ゲノム医療実用化に向けて、様々なクリニカルバイオバンクなどの立ち上げに、「オミックス研究用生体試料の取扱いに関する報告書（平成29年10月）」の成果が広く活用されており、生体試料の品質の標準化に貢献している。 <p><u>ELSIに関する活動</u></p>	<ul style="list-style-type: none"> ・さらに、データシェアリング推進にあたり、データシェアリングポリシーの適用拡大やデータシェアリングの国際連携を進めるとともに、JST-NBDC及びDDBJ等の関係機関と協働し、AGDを構築したことは高く評価できる。 	<p>売を開始、また、チオプリン製剤に対する不耐患者を判別するための遺伝子検査キットが2019年2月より保険適用されることが承認されるなど、ゲノム医療の実現に向け、着実に進展していることは評価できる。また、本成果は東北メディカル・メガバンク計画において作成された全ゲノムリファレンスパネルを基に臨床性能試験等を実施しており、事業間の連携が進められていることは高く評価できる。</p> <ul style="list-style-type: none"> ・平成30年8月にゲノム医療に係るバイオバンクの検査の品質・精度を確保する国際的基準ISO20387の発行に貢献した。また、「ゲノム医療における情報伝達プロセスに関する提言」をがん領域と難病領域にて公表した。さらに、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を作成するなど、ゲノム創薬研究推進に係る課題解決に関する研究をいくつか進展させたことは評価できる。 ・霊長類のデータベース構築に先立ち、既存データを活用したヒトPre-mRNA/mRNA及びDNAデータベース（テスト版）を構築し公開した（平成30年6月27日）。このテスト版を活用し、本邦 	
--	--	--	---	---	--

			<p>・ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業をはじめとする各省連携プロジェクト「疾病克服に向けたゲノム医療実現化プロジェクト」の推進の一環として、ゲノム医療研究において生じうる倫理的・法的・社会的諸課題（ELSI：Ethical, Legal and Social Issues）の問題解決を推進するため「先導的 ELSI 研究プログラム」を設定し、研究開発を推進した。また、ゲノム医療研究やそれにまつわる ELSI に関する国民理解の促進を図るとともに次世代の ELSI 研究者の育成を目指した「研究倫理に関する情報共有と国民理解の推進事業（ゲノム医療実用化に係る ELSI 分野）」の研究開発を実施した。また、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。</p> <p>■バイオバンク機能等を活用した疾患関連遺伝子・薬剤関連遺伝子の同定等に関する研究の推進</p> <p>・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。</p> <ul style="list-style-type: none"> ➤ 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。 ➤ 平成 28 年度採択課題については、平成 30 年度に中間評価を行い、全課題について、研究の継続が認められており、次の成果も得られている。 ➤ 本研究により開発した手法を用いて、今まで疾患原因となるゲノム変異が発見できなかった家族性ミオクローヌスてんかん罹患者の疾患関連遺伝子において、新規の構造異常が本疾患の原因として同定された。 ➤ 双極性障害の家系における発解析を行い、ある遺伝子の機能不全変異を見出し、「セロトニンの異常と活性化双極性障害の関係」を見いだした。 ➤ GWAS データとインシリコデータベースを活用したインシリコ drug スクリーニング法を開発し、vitro と動物モデルにおいて神経細胞死抑制効果を示す新規抗パーキンソン病薬を発見した。 ➤ 2 型糖尿病について、健常者を対照とする全ゲノム関連解析にて、複数の薬剤標的遺伝子の蛋白変化を伴う変異を認めた。88 個の領域を同定し、28 領域がこれまでに報告されていない新規領域であり、さらにうち 2 領域は日本人特異的な領域であった。 	<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> <p>・本研究により開発した手法を用いて、今まで疾患原因となるゲノム変異が同定されたこと、新規抗パーキンソン病薬の発見、2 型糖尿病について日本人特異的な異領域の発見など、順調に進捗している。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の実施や最新のゲノム解析技術を取り入れるなど、ゲノム医療の実現に向けた新たな取り組みを実施する必要がある。</p>	<p>初のアンチセンス核酸医薬品（スピラザ）のオンターゲット・オフターゲットサイトの検証を行ったことは評価できる。</p>	
--	--	--	---	--	---	--

			<ul style="list-style-type: none"> ▶ 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。 	る。		
また、共同研究やゲノム付随研究等の実施により、難治性・希少性疾患等の原因遺伝子の探索を図るとともに、ゲノム情報を生かした革新的診断治療ガイドラインの策定に資する研究を推進する。	また、難治性・希少性疾患・未診断疾患等の原因遺伝子の探索を図るため、国内の医療・研究機関及び国際機関等並びにその研究コミュニティと緊密な連携を進める。また、ゲノム情報を生かした革新的診断治療ガイドラインの策定に資する研究を支援する。	<p><評価軸></p> <ul style="list-style-type: none"> ・共同研究やゲノム付随研究等の実施により、難治性・希少性疾患等の原因遺伝子の探索を図ったか。 ・ゲノム情報を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。 <p><モニタリング指標></p> <ul style="list-style-type: none"> ・左記の評価軸に係る取組状況等 	<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"> ・平成 28 年度に開始した、臨床ゲノム統合データベース整備事業により以下の成果が得られた。 ▶ 4つの疾患領域（希少・難治性疾患、がん、感染症、認知症・感覚器）を対象に、クリニカルシーケンス等の実施体制及び臨床情報とゲノム情報等を集積したデータストレージとそれらの情報を集約する体制を整備した。 ▶ 希少・難治疾患の新たな原因遺伝子を同定した。 ▶ 感染症領域では、B 型肝炎ワクチン応答性に関わる遺伝的要因、慢性 B 型肝炎の感染から発がんに転化する遺伝的要因を解明した。IRUD、難プラと連携して、疾患関連変異のデータ共有を推進した。 ▶ 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。 ▶ 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。 ▶ クリニカルシーケンスにより見いだされた疾患感受性バリエーション情報を疾患横断的に集約した統合データベース MGeND (Medical genomics Japan Variant Database) を構築し、本事業で採択された疾患領域別の研究開発課題（希少・難治性疾患領域、がん領域、感染症領域、認知症・その他領域）において行われたゲノム解析結果を登録、日本人の疾患感受性バリエーション情報を公開した。MGeND に登録されたデータの品質管理の体制整備を進めた。 ▶ 令和元年度末時点でデータ登録数が以下のとおりとなった。 <ul style="list-style-type: none"> - 希少・難治疾患 18,584 変異 - がん 14,869 変異 - 感染症 156,408 変異 (GWAS, HLA を含む) 	<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"> ・臨床ゲノム統合データベース整備事業により、がん領域で開発した「NCC オンコパネル」は、先進医療 B を経て体外診断用医薬品・医療機器として製造販売承認を取得し、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、令和元年度保険収載され、がんゲノム医療実現の礎となったことは評価できる。 		

			<ul style="list-style-type: none"> - 認知症 410 変異 (GWAS を含む) - 他事業 4,217 変異 (HLA を含む) - 合計 194,488 変異 (GWAS, HLA を含む) <p>▶ 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。</p> <p>▶ 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。</p> <p>・東北メディカル・メガバンク計画により、以下の成果が得られた。</p> <p>▶ 東北メディカル・メガバンク計画において、未診断疾患イニシアチブ (IRUD) 診療体制と連携し、病因解明のための病的変異の絞り込みに必要な健常人コントロールとして、全ゲノムリファレンスパネルの全 1 塩基バリエーションをはじめとするバリエーション頻度情報の提供を継続して行った。未診断疾患イニシアチブ (IRUD) 全体で 4600 家系以上の未診断状態の患者のゲノム解析が加速した。</p> <p>■革新的診断治療ガイドラインの策定に資する研究の推進</p> <p>・ゲノム医療実用化推進研究事業により、以下の成果が得られた。</p> <p>▶ がんの個別化治療のための臨床シークエンス (FFPE のシークエンス) を行い、解析結果はエキスパート会議にて臨床的意義づけを行い、主治医に報告した。また、米国 CLIA 準拠の遺伝子検査室を医療機関内に初めて開設し、実診療に近い形で 100 例の解析を行い、品質が確保された結果を担当医に報告するまでの時間を短縮した。</p> <p>・臨床ゲノム情報統合データベースの整備事業により、以下の成果を得られた。</p> <p>▶ がんの個別化予防のための臨床シークエンスでは、遺伝性腫瘍あるいはそれを疑われる症例に対する既知の原因遺伝子の変異検索法として汎用性のある多遺伝子パネル NCCConcopanel FCv1.0 の作製に加え、基本的に公開されているツール群を組み合わせることで多遺伝子パネルのデータの品質検査・変異コール・アノテーションを行う GUI である csDAI を開発した。</p> <p>▶ 臨床シークエンスの現場の状況把握に基づく検討から、疾患領域や施設により偶発的所見等の捉え方や方針等の相違・多様性があり、現時点で日本として 1 つのポリシーを示すことは時期尚早と結論づけられた。しかし偶発的所見等の返却を判断する際の考え方の共通の枠組として、判断チャートや返却のフロー図 (案) を提案した。また、共通の課題として、① 最終判断としての返却について付議を行ったり、あるいは相談を求めたりすべき組織と、② 患者のみなら</p>	<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"> ・4つの疾患領域 (希少・難治性疾患、がん、感染症、認知症・感覚器) を対象に、臨床シークエンス等の実施体制及び臨床情報とゲノム情報等を集積したデータストレージとそれらの情報を集約する体制を整備したことは評価できる。 ・ClinVar にない日本人集団に特徴的な疾患ゲノム情報の蓄積が進んでおり、地球規模の疾患ゲノム研究に資するデータ公開となっていることは評価できる。 <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"> ・計画通りの成果が得られており、評価できる。 		
--	--	--	---	---	--	--

			<p>ず血縁者の長期的追跡・支援を行えるシステムを整備する必要があることが明らかになった。</p> <ul style="list-style-type: none"> ▶ 難聴では、若年発症型両側性感音難聴の遺伝学的検査が保険収載された。 ▶ 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多種進行がんを対象とした「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。 ▶ がん領域で開発した「Todai オンコパネル」は、保険収載へ向け、今年度、先進医療 B を実施中である。 ▶ 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。 			
<p>さらに、ゲノム医療実現に向けた研究基盤の整備やゲノム医療提供体制の構築を図るための試行的・実証的な臨床研究を推進する。</p>	<p>さらに、主治医を通じて患者に成果を還元するためのゲノム医療実現に向けたシステム等の研究基盤の整備や医療提供体制の構築を図るための試行的・実証的な臨床研究を推進する。これらを実現するために必要な、ゲノム解析で得た個人の遺伝情報について、返却を行う場合のインフォームド・コンセント及び結果開示方法</p>	<p><評価軸></p> <ul style="list-style-type: none"> ・ゲノム医療実現に向けた研究基盤の整備やゲノム医療提供体制の構築を図るための試行的・実証的な臨床研究を推進したか。 <p><モニタリング指標></p> <ul style="list-style-type: none"> ・左記の評価軸に係る取組状況等 	<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"> ・ゲノム情報の医療への実利用を進めるため、平成 29 年度よりゲノム創薬基盤推進研究事業により、ゲノム創薬研究の成果の患者還元に係る諸課題の解決及びゲノム情報を活用した薬剤の開発等を推進しており、以下の成果を得られた。 <p><u>ゲノム創薬及びその推進に係る課題解決に関する研究 (PGx 実施に向けた診断キット等の研究開発)</u></p> <ul style="list-style-type: none"> ▶ 炎症性腸疾患、白血病、リウマチ性疾患、臓器移植後の治療におけるチオプリン製剤の重篤な副作用の予測に有用な NUDT15 (Nudix Hydrolase 15) 遺伝子多型を検出するキット (製品名: MEBRIGHT NUDT15 キット、以下「本キット」) を開発し、世界で初めて体外診断用医薬品として製造販売承認 (平成 30 年 4 月 6 日) を取得し、同年 7 月 2 日に発売した。さらに、平成 31 年 1 月 16 日に保険収載され、2 月から保険適応となった。 ▶ HSD17B4 メチル化診断キットを完成させ、HER2 陽性乳癌のみならず、全てのサブタイプで適用可能なマーカーが得られた。 <p><u>ゲノム創薬及びその推進に係る課題解決に関する研究 (診断法・治療法等の研究開発)</u></p> <ul style="list-style-type: none"> ▶ ファブリー病、嚢胞性線維症、cb1-E 型ホモシスチン尿症、先天性 QT 	<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"> ・副作用予測を可能にする遺伝子検査キットの開発を進め、保険収載まで至ったこと、患者やその家族等に対して必要とされる説明事項や留意事項を明確化する提言 (その 1 及びその 2) を策定したことは評価できる。 <p><今後の課題></p> <ul style="list-style-type: none"> ・保険収載された NUDT15 (Nudix Hydrolase 15) 遺伝子検査を副作用の予測以外に、投与量の設定など個別化医療のツールとして最大限に活用する方法を検討する。 ・MGeND をはじめとしたゲノム情報等を創薬等へ利活用する研 		

	<p>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>延長症候群 I 型をはじめとする多数の遺伝病関連変異がスプライシング制御化合物 (RECTAS、TG003) により正常遺伝子産物の回復が見込めることを見いだした。先行して解析を行い非臨床 POC が確認できた家族性自律神経失調症 (FD) については、臨床治験に向けた導出交渉に着手した。</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> <ul style="list-style-type: none"> ▶ バイオバンク国際標準規格 ISO20387 を平成 30 年 8 月に発行した。また、ゲノム解析技術を対象とした ISO15189 施設認定プログラムの構築に必要なガイダンス文書を作成し、現地実技試験に使用する標準試料の開発・作製を行った。 ▶ 「ゲノム医療における情報伝達プロセスに関する提言 -その 1 : がん遺伝子パネル検査を中心に- (改定第 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。 ▶ 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 ▶ ゲノム医療に関わる看護師、薬剤師、検査技師向けのテキスト (ひと目でわかるがんゲノム看護師、薬剤師、検査技師の仕事) を作成し、HP 上で公開した。豊岡班 7 大学主催による研修会を実施し、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。また、がん/非がんの基本的なゲノム知識を兼ね備えた横断的な医療従事者の掘り起こしと底上げを図った。さらにはデータサイエンティストの知識/技能の底上げのため、平成 29~令和元年度にかけて短期集中研修 (2 泊 3 日合宿) を行った。 <p><u>ゲノム情報を活用した新規創薬ターゲットの探索等の基盤整備に関する研究 (創薬探索基盤整備課題)</u></p> <ul style="list-style-type: none"> ▶ 霊長類のデータベース構築に先立ち、既存データを活用したヒト Pre-mRNA/mRNA 及び DNA データベース (テスト版) を構築し公開した (平成 30 年 6 月 27 日)。このテスト版を活用し、昨年発売された本邦初のアンチセンス核酸医薬品スピラザ (18 塩基配列) のオン 	<p>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>ターゲット・オフターゲットサイトの検証を行った。また、乳幼児に対する核酸医薬開発が加速してきているため、本事業で計画している成獣カニクイサルに加えて、発生段階にある乳幼児期におけるカニクイサルの pre-mRNA/mRNA データベース、さらに、薬剤応答性の個体差につながる種としての遺伝的な多様性を配慮するために、産地の異なる成獣個体の pre-mRNA/mRNA を含めたデータベース構築も行い、令和元年6月に公開 (D3G α版) した。令和2年3月にマーモセットのデータを含む D3G 完成版を公開予定であり、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>➤ 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究として2課題を採択し、研究開発支援を開始した。</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"> ・糖尿病などに関するリスク予測や予防、診断（層別化）や治療、薬剤の選択・最適化等に係るエビデンスの創出 ・発がん予測診断、抗がん剤等の治療反応性や副作用の予測診断に係る臨床研究の開始・うつ、認知症・感覚器系領域のゲノム医療に係る 	<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"> ・糖尿病などに関するリスク予測や予防、診断（層別化）や治療、薬剤の選択・最適化等に係るエビデンスの創出 ・発がん予測診断、抗がん剤等の治療反応性や副作用の予測診断に係る臨床研究の開始・うつ、認知症・感覚器系領域のゲノム医療に係る 	<p><評価指標></p> <p>【2020年までの達成目標】</p> <ul style="list-style-type: none"> ・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 	<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> <p>➤ 「複数の薬剤標的遺伝子のタンパク変化を伴う変異」は、薬剤の効果を左右することが想定され、薬剤の選択・最適化にかかるエビデンスとなる。また、「2型糖尿病の全ゲノム関連解析にて同定された遺伝子について、パスウェイ解析を実施し、インスリン分泌制御機構が日本人に特徴的な病因であることを見いだし」た、ということは、従来問題となっている「治療薬が欧米人には効くが日本人には効かない」原因を示唆するものであり、治療にかかるエビデンスとなり得るのである。</p> <p>また、糖尿病の主要な合併症である網膜症と腎症の重篤化にかかる関連解析を実施し、関連性の高いと思われる遺伝子を同定した。これは合併症の抑制に係るエビデンスとなるものである。</p> <p>さらに、平成30年度の公募において、糖尿病等にかかる腎臓病の予後層別化と最適化医療の確立を目指して精緻な疾患レジストリと遺伝・環境要因の包括的解析を実施する課題を採択し、研究開発を開始するとともに、循環器疾患のゲノム医療実現を目指して、本疾患のゲノム解析から社会実装まで目指す課題を採択し、研究開発を開始した。</p> <p>➤ ゲノム医療実現推進プラットフォーム事業において、本年度、日本人集団の2型糖尿病に関わる新たな28の遺伝子領域を同定した。</p>			

<p>臨床研究の開始 ・神経・筋難病等の革新的な診断・治療に係る臨床研究の開始 を目指すものとする。2020年までに、上記の達成目標のうち少なくとも1つ以上達成することを目指すものとする。</p>	<p>臨床研究の開始 ・神経・筋難病等の革新的な診断・治療に係る臨床研究の開始 を目指すものとする。2020年までに、上記の達成目標のうち少なくとも1つ以上達成することを目指すものとする。</p>	<p>・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</p>	<p>▶ ゲノム創薬基盤推進研究事業において、効果的・効率的でより安全な薬剤を選択できるように、ファーマコゲノミクスに基づく患者の薬剤応答などを簡便に確認するための検査法の開発及び実証研究を開始した。</p> <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"> ・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"> ▶ 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) ▶ 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) ▶ 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) ・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。 <ul style="list-style-type: none"> ▶ チオプリン製剤に対する不耐患者を判別するための遺伝子検査キットの開発を行い、2018年4月に体外診断用医薬品として製造販売承認を取得、7月に発売を開始した。さらに、チオプリン製剤に対する不耐患者を判別するための遺伝子検査キットは2019年2月より保険収載になることが2019年1月に承認された。 ▶ また、ゲノム創薬基盤推進研究事業において、①遺伝子情報と薬物効果及び有害反応等の臨床情報に基づくファーマコゲノミクス研究により効果・効率的な薬物投与を実現する基盤研究、②遺伝子変異・多型（遺伝子型）と疾患の発症（表現型）との関連についての臨床的解釈の推進を図るために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究を令和元年度より開始した。 ・オーダーメイド医療の実現プログラムにより、以下の成果を得られた。 <ul style="list-style-type: none"> ▶ 乳がんの原因とされる 11 遺伝子について、バイオバンク・ジャパンにより収集された日本人の乳がん患者群 7,051 人および対照群 11,241 人の DNA を解析し、遺伝性乳がんの「病的バリエーションデータベース」を構築しており、日本の乳がん患者一人一人にあった治療を行 			
--	--	--	--	--	--	--

		<p>・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</p> <p>・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</p> <p><モニタリング指標></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>う「ゲノム医療」に貢献すると期待できる。</p> <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> <p>・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。</p> <p>▶ 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> <p>・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。</p> <p>▶ 希少・難病疾患に対してクリニカルシーケンスを行い、一部で確定診断を得るなど、臨床研究開始に貢献した。</p> <p>▶ 遺伝性筋疾患においては、原因遺伝子をほぼ全てカバーする解析パネル、遺伝子パネルを開発し、遺伝子診断サービスを行った。</p> <p>▶ 神経難病においては、分子遺伝学的背景の解明および全国の症例の診断精度向上に貢献した。収集された臨床情報およびクリニカルシーケンスで得られた遺伝子変異情報のうち、非制限公開可能な情報は 2018 年 3 月に公開された MGeND に登録され、公開されている。</p> <p><モニタリング指標></p> <table border="1" data-bbox="845 1186 1676 1858"> <thead> <tr> <th></th> <th>H27</th> <th>H28</th> <th>H29</th> <th>H30</th> <th>R1</th> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td>応募件数及び採択件数</td> <td>24 件、 8 件</td> <td>119 件、 30 件</td> <td>34 件、 5 件</td> <td>28 件、 7 件</td> <td>100 件、 14 件</td> </tr> <tr> <td>事業に参画している研究者延べ人数</td> <td>144</td> <td>311</td> <td>148</td> <td>877</td> <td>1,542</td> </tr> <tr> <td>PMDA への薬事戦略相談を行った研究開発課題数</td> <td>0</td> <td>0</td> <td>0</td> <td>2</td> <td>0</td> </tr> <tr> <td>機動的な研究推進のため年度内に契約変更を実施した課題数</td> <td>4</td> <td>20</td> <td>15</td> <td>10</td> <td>20</td> </tr> </tbody> </table>		H27	H28	H29	H30	R1	応募件数及び採択件数	24 件、 8 件	119 件、 30 件	34 件、 5 件	28 件、 7 件	100 件、 14 件	事業に参画している研究者延べ人数	144	311	148	877	1,542	PMDA への薬事戦略相談を行った研究開発課題数	0	0	0	2	0	機動的な研究推進のため年度内に契約変更を実施した課題数	4	20	15	10	20			
	H27	H28	H29	H30	R1																															
応募件数及び採択件数	24 件、 8 件	119 件、 30 件	34 件、 5 件	28 件、 7 件	100 件、 14 件																															
事業に参画している研究者延べ人数	144	311	148	877	1,542																															
PMDA への薬事戦略相談を行った研究開発課題数	0	0	0	2	0																															
機動的な研究推進のため年度内に契約変更を実施した課題数	4	20	15	10	20																															