

1. 当事務及び事業に関する基本情報			
I－(2)―⑨	(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 ⑨疾患に対応した研究<難病>		
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 899-9）

2. 主要な経年データ													
	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		171 件	412 件	441 件	73 件	553 件	予算額（千円）	10,011,792	10,202,693	9,697,274	8,938,379	8,735,209
	採択件数		25 件	97 件	147 件	15 件	87 件	決算額（千円）	9,891,837	9,791,129	9,471,399	9,093,736	8,680,866
	シンポジウム等の開催件数		3 件	1 件	3 件	1 件	3 件	経常費用（千円）	9,891,728	9,866,636	9,580,274	9,166,341	8,900,453
	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		32 件	138 件	160 件	84 回	137 件	経常利益（千円）	0	0	17	0	0
	PS/PO 会議実施回数		3 件	6 件	7 件	6 件	4 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）	9,891,728	9,787,867	9,458,773	9,092,243	8,918,306
	新規薬剤の薬事承認や既存薬剤の適応拡大（2020 年頃まで）	11 件（累積）	3 件	3 件	4 件（累積）	6 件（累積）	7 件（累積）	従事人員数	10 人	12 人	12 人	13 人	15 人
	欧米等のデータベースと連携した国際共同臨床研究及び治験の開始（2020 年頃まで）		－	開始済	開始済	開始済	開始済						
	未診断又は希少疾患に対する新規原因遺伝子又は新規疾患の発見を	5 件（累積）	－	6 件（累積）	9 件（累積）	16 件（累積）	29 件（累積）						

	5 件以上達成(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  
\*主な参考指標情報（29 年度の PS/PO 会議実施回数）について、平成 30 年度自己評価報告書における誤記を修正

	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>希少・難治性疾患（難病）の克服を目指すため、患者数が希少ゆえに研究が進まない分野において、各省が連携して全ての研究プロセスで切れ目ない援助を行うことで、難病の病態を解明するとともに、効果的な新規治療薬の開発、既存薬剤の適応拡大等を一体的に推進する。</p> <p>具体的には、難病の克服を目指すため、治療法の開発に結びつくような新しい疾患の病因や病態解明を行う研究、医薬品、医療機器等の実用化を視野に入れた画期的な診断法や治療法及び予防法の開発を目指す研究を推進するとともに、データネットワークや解析コンソーシアムの整備、診断委員会を運営する拠</p>	<p>希少・難治性疾患（難病）の克服を目指すため、患者数が希少ゆえに研究が進まない分野において、各省が連携して全ての研究プロセスで切れ目ない援助を行うことで、難病の病態を解明するとともに、効果的な新規治療薬の開発、既存薬剤の適応拡大等を一体的に推進する。</p> <p>具体的には、未だ治療法の確立していない難病等に対し、治療法の開発に結びつくような新しい疾患の病因、病態解明を行う研究を推進するため、疾患モデルの作成や生体試料の収集、管理、運用するシステムに関する研究を行い研究基盤の創出を図りつつ、遺伝子解析等、病因、病態解明を行う研究及び</p>	<p>&lt;評価軸&gt;</p> <p>希少・難治性疾患（難病）の克服を目指すため、治療法の開発に結びつくような新しい疾患の病因や病態解明を行う研究、医薬品、医療機器等の実用化を視野に入れた画期的な診断法や治療法及び予防法の開発を目指す研究を推進とともに、未診断疾患に対する全国規模の診断体制を構築するための研究を推進したか。</p> <p>&lt;モニタリング指標&gt;</p> <p>・左記の評価軸に係る取組状況等</p>	<p>■疾患の原因・病態解明を行う研究、画期的な診断法・治療法・予防法の研究の推進</p> <p>・研究の推進にあたり PD・PS・PO 等による研究開発マネジメントに取り組んだ。具体的には、サイトビジットや研究課題のヒアリングの開催などによる進捗状況把握に加え、Risk &amp; Impact based approach to management 等にもとづく半年毎の進捗報告（研究および予算執行状況）の分析と課題抽出を実施し、研究費の規模や社会的インパクト、開発上の懸念や問題の予想可否により分類し、課題管理の時期や関与度合いを最適化するとともに、指標も定量的又は定性的な手法を使い分けた効果的な研究開発管理を行った。また、研究開発提案書により適切な評価が実施できるよう別紙を追加し、応募課題の研究テーマと評価委員の専門性で最適な評価委員を査読者に充当するための査読割りシステムを稼動させるとともに、科学技術調査員として非臨床試験に対し助言をいただく PMDA 毒性専門家に加え治療・臨床研究の専門家を追加し、より専門的な評価及び助言が可能となる体制を強化した。さらに、採択している研究課題を疾患、公募枠（開発フェーズ）にて整理し、公表論文等で示されている開発フェーズ毎の次ステップへの成功確率を元に事業として理想的なポートフォリオ案に基づく公募設計を実施した。また、ステップ2（医師主導治験）については、開発候補物を新規候補物とドラッグリポジショニングによる効能追加に分けた公募設計により、研究開発費の最適化と実現可能性の高い課題の採択を達成した。</p> <p>・令和元年度、難治性疾患実用化研究事業において、委託研究開発として以下の 205 件の研究開発課題の課題管理を実施した。</p>	<p>&lt;評価と根拠&gt;</p> <p>評価：S</p> <p>患者の多くが未だ治療がない、もしくは診断さえつけられていない希少・未診断疾患に対する研究開発においては、迅速に研究成果を治療へと結びつけることが重要となる。令和元年度までに 7 件の薬事承認を達成しており、本年度中に 2 課題の開鍵を予定している。また、医師主導治験を実施中ないし実施準備している課題が 23 課題と豊富な開発後期パイプラインを構築でき、今後も承認取得の増加が見込まれる。また、iPS 細胞モデルにて見出された治験薬による筋萎縮性側索硬化症（ALS）治験は目標症例数の登録を速やかに達成し、進行性骨化性線維異形成症（FOP）治験については全例で 24 週評価が終了し、安全性に問題なく長期投与に移行しており、iPS 細胞創薬という革新的な医療開発を推し進めている。未診断疾患イニシアチブ（IRUD）において CIRB の活用や 37 の大学病院に診療科横断的診断委員会を設置する等、全国の大学病院、地域中核病院を含む全国を網羅する 490 施設による大規模ゲノム観察研究を円滑に遂行した。また、診断困難な累計 4,658 家系を登録（令和元年 9 月）のうえ半年以内に解析結果を返却する取組を実施した。また、難病プラットフォームではレジストリー構築支援の個別相談会を実施し 40 以上の研究班が実際に当該</p>	<p>・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、新規治療薬の開発、既存薬剤の適応拡大等について、30 年度までに 6 件の薬事承認を既に達成しており、加えて、脳・脊髄疾患の歩行障害に対する HAL-HN01 は薬事申請を予定している。さらに、海外で薬事承認を取得するケースや体外診断医薬品等も合算すると、KPI の薬事承認取得 11 件は達成することが期待される。また、医師主導治験が 26 件実施されており、令和元年度以降もさらなる新規治療薬の開発、既存薬剤の適応拡大等将来的な成果の創出が期待される。</p> <p>・新規原因遺伝子又は新規疾患の発見は 5 件という目標値に対して 16 件と大幅に成果をあげていることは高く評価できる。</p> <p>・さらに 1 件の国際共同臨床研究及び治験については開始の目標を達成のうえ現在も順調に被験者登録が進んでおり、「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>・筋萎縮性側索硬化症（ALS）について iPS 細胞モデルを駆使して</p>			

	<p>点病院の整備など希少・未診断疾患に対する全国規模の診断体制を構築するための研究を推進する。</p>	<p>シーズの探索を行う研究を推進する。また、実用化を視野に入れた画期的な診断法、治療法及び予防法の開発を目指す研究を推進するため、薬事承認に必要とされる前臨床試験及び臨床試験を実施して薬事承認の取得を目指す研究や診療に関する質の高いエビデンスを提供するための研究を促進し、研究成果の実用化を図る。</p>	<p>【治療法の開発に結びつくような新しい疾患病因や病態解明を行う研究（令和元年度）】</p> <p>➤ 疾患モデルの作成や生体試料の収集、管理、運用するシステムに関する研究（事業内の定義で「オミックス解析を通じて希少難治性疾患の医療に貢献する基盤研究（オミックス解析拠点）」に相当）及び遺伝子解析等、病因、病態解明を行う研究（事業内の定義で「未診断疾患イニチアチブ（Initiative on Rare and Undiagnosed Diseases: IRUD）」に関連する課題）…12 課題</p> <p>【治療法の開発に結びつくような新しい疾患病因や病態解明を行う研究】</p> <p>➤ 希少難治性疾患の克服に結びつく病態解明研究…35 課題</p> <p>【シーズの探索を行う研究】</p> <p>➤ 薬事承認を目指すシーズ探索研究（ステップ 0）…73 課題</p> <p>【医薬品、医療機器等の実用化を視野に入れた画期的な診断法や治療法及び予防法の開発を目指す研究】</p> <p>➤ 「希少難治性疾患に対する画期的な医薬品医療機器等の実用化に関する研究：治験準備（ステップ 1）」…9 課題</p> <p>➤ 「希少難治性疾患に対する画期的な医薬品医療機器等の実用化に関する研究：治験（ステップ 2）」…23 課題</p> <p>診療に関する質の高いエビデンスを提供するための研究（事業内の定義で「診療に直結するエビデンス創出研究」に相当）…52 課題</p> <p>【その他、本プロジェクトのもとで研究基盤の創出や研究成果の実用化を図る研究】</p> <p>➤ 「希少難治性疾患の研究及び医療の発展に資する情報基盤構築研究（事業内の定義で「難病プラットフォーム」に相当）…1 課題</p> <p>・上記を実施した結果として得られた主要な成果や進捗状況の事例、将来の成果創出への期待等は以下のとおりである。</p>	<p>プラットフォームの活用を開始し、企業とのマッチング支援を開始するなど、データシェアリングの環境整備は更に加速している。課題管理に関しては研究内容と評価委員の専門性を合致させるマッチングシステムの開発・導入や、効果的かつ効率的な課題管理が可能になる「Risk &amp; Impact based approach to management」の導入を開始した。更に保有する開発パイプラインの最適化を PSP0 会議で分析、協議し、その結果に基づき公募を設計している。IRDIRC の第 6 回加盟機関総会を東京で開催し新 10 か年目標の策定に貢献した。この一環として、症例の国際的な情報共有（Matchmaker Exchange）の Connected Nodes に正式に IRUD が登録され、日本国内での検討のみでは確定診断に至らなかった事例についても国際連携を推進した。</p> <p>また、IRUD Beyond（Beyond diagnosis /Beyond genotyping/Beyond borders）を設定し、遺伝子編集技術を用いた医療開発や、モデル生物を用いた診断成功率の向上、海外への情報発信を含む国際連携を進めている。加えて HAM に対する国際共同治験で KPI を達成済みだが、更に「Global Eye Genetics Consortium」を通じた症例・ゲノム情報登録による国際共同臨床研究も予定されている。</p> <p>未診断又は希少疾患に対する新規原因遺伝子等の発見は KPI 5 件に対して既に 29 件と著しい成果を出しており、今後も新たな発見が続く予定である。以上から「研究開発成果の最大化」に向けて特に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>【疾患の原因・病態解明を行う研究、</p>	<p>見出した治験薬を用いた医師主導治験を開始し、また、患者由来 iPS 細胞から作製した細胞を用いた解析をおこなっており、疾患特異的 iPS 細胞を用いた疾患の発症機構の解明、創薬研究や予防・治療法の開発等に向け取り組んでいることは高く評価できる。</p> <p>・未診断疾患イニチアチブ（IRUD）における中央治験・倫理審査委員会による審査を達成し、全国 400 を超える機関の網羅的なネットワークを構築し、これまで診断が困難な症例 3000 以上の家系を登録するとともに、800 例近くの患者へ半年以内の結果返却を可能にしたことは高く評価できる。</p> <p>・難病の克服を目指したデータネットワークの整備として、難病プラットフォームではレジストリー構築支援の個別相談会を累計 59 件実施し、既に 35 の研究班が難病プラットフォームを利用したレジストリー構築に着手しており、情報基盤構築を進めていることも評価できる。</p> <p>・欧米等のデータベースと連携した国際共同臨床研究及び治験開始については、HAM に対する国際共同治験で KPI を達成済みだが、更に「Global Eye Genetics Consortium」を通じた症例・ゲノム情報登録による国際共同臨床研究も予定しており評価できる。また、症例の国際的な情報共有（Matchmaker</p>
--	--	---	---	--	---

				<p>【難病の病態解明】</p> <p>「希少難病の高精度診断と病態解明のためのオミックス拠点の構築」:</p> <p>699 例の小児てんかん患者から採取した血液白血球から DNA を採取し、次世代シーケンサーを用いた全エクソーム解析を用いて疾患原因遺伝子の検索を行い、WAVE 調節複合体の構成タンパクの一つである CYFIP2 の 87 番目のアミノ酸変異が、早期発症型のてんかん性脳症を引き起こす原因となることを世界で初めて見出した。本成果は国際医学雑誌 Annals of Neurology に発表している。</p> <p>【効果的な新規治療薬の開発、既存薬剤の適応拡大等】</p> <p>医師主導治験を実施中ないし実施準備している課題が 23 課題と多数あり、今後更なる医薬品、医療機器等の薬事承認（実用化）が期待される。</p> <p>その中には「iPS 細胞創薬に基づいた新規筋萎縮性側索硬化症 (ALS) 治療薬であるロピニロール塩酸塩の実用化第 1/2a 相試験」のように、実際のヒト脊髄における病態を十分に再現し得たモデルは未だ存在しない ALS において、健常者由来及び ALS 患者さん由来の血液細胞から作った iPS 細胞を誘導して脊髄運動ニューロンを作製したうえで治験薬候補物（ロピニロール塩酸塩）を見出し、当該治験薬を用いた医師主導治験を開始した。本件は動物モデルではなく iPS 細胞モデルを駆使した iPS 細胞創薬という革新的な手法で治験を開始した事例も含まれている。</p> <p>また、治験課題の中には組入が完了し試験結果の確認が確実なものの総括報告書の作成が研究期間内に完了しない場合は企業導出が困難になる場合がある。このようなケースに対応できるよう、適切な評価手順を定め必要な支援が実施できる体制を構築し 3 件の課題について総括報告書と企業導出までの支援継続を達成した。この 3 件の内の 2 件については令和元年度内に開鍵が達成でき、残りの 1 件も令和 2 年 6 月頃には開鍵予定であり、その後の導出企業による承認取得が期待できる。</p> <p>【その他特筆すべき事例】</p> <p>➤ 「緩徐進行性の神経・筋疾患患者に対する HAL 医療</p>	<p>画期的な診断法・治療法・予防法の研究の推進】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・課題管理としてはステージゲート評価としての TPP や体制、企業連携について、AMED 全体で導入する前より当事業で着手していたことに加え、評価の高質化のため客観的評価に向けた TPP や企業連携等、公募要領や提案書のフォームを独自開発し AMED 他事業にも紹介している。</li> <li>・希少難治性疾患の研究及び医療の発展に資する情報基盤構築研究「難病プラットフォーム」を立ち上げ、難病情報の集約・統合と二次利用が進むよう、統合システムや各種手順書、二次利用に必要な倫理的検討等を実施したこと、そこに既に多くの難病研究班からレジストリのカatalog情報を集め公開していることは評価できる。</li> <li>・オープンサイエンスの推進に向け、難病克服プロジェクトにおける「ゲノム医療実現のためのデータシェアリングポリシー」を策定し公開したことは評価できる。</li> <li>・次世代シーケンサーやオミックス解析といった新しい技術の活用により治療ターゲットの探索が加速するとともに、モデル生物コーディネーティングセンターにより既存の IRUD 活動と相乗効果生まれ、原因遺伝子同定が効率化した。</li> <li>・「AMED Gene &amp; Cell Therapy Symposium」として、米国、シンガポールから KOL を招聘し、遺伝子治療（in vivo 遺伝子治療）と細胞治療に関する公開シンポジウムを開催したことは、本領域におけるサイエンスと医療実装に関する議論が加速する意味で評価できる。</li> </ul>	<p>Exchange) の Connected Nodes に正式に IRUD が登録され日本国内での検討のみでは確定診断に至らなかった事例についても国際連携を推進し、国際希少疾患研究コンソーシアム（IRDiRC）の新 10 か年目標の策定に貢献した。また、IRUD Beyond (Beyond diagnosis/Beyond genotyping/Beyond borders) を設定し、遺伝子編集技術を用いた医療開発や、モデル生物を用いた診断成功率の向上、海外への情報発信を含む国際連携を進めていることも評価できる。</p> <p>・以上より、未診断又は希少疾患に対する新規原因遺伝子又は新規疾患の発見に向けた研究を推進し、新規薬剤の薬事承認や既存薬剤の適応拡大に向け、国際的に連携した国際共同臨床研究及び治験の開始をする等、「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ことは高く評価できる一方、現時点で全ての KPI を達成できているわけではなく、中長期目標における所期の目標と比して特に顕著な成果が得られているとは認められないため、評定を A とした。</p>	
--	--	--	--	--	--	--	--

			<p>用下肢タイプの薬事承認取得」：</p> <p>希少難治性の神経・筋難病疾患の患者に対して医師主導治験（NCY-3001 試験）を行い製造販売承認に至った。</p> <p>➤ 「SJS（スティーブンジョンソン症候群）及び TEN（中毒性表皮壊死症）の眼後遺症〔強度視力障害とドライアイ〕に対するサンコン Kyoto-CS の薬事承認取得」：</p> <p>SJS 及び TEN による眼後遺症患者に対し医師主導治験を実施し製造販売承認に至った。海外では高度変形角膜に対し強膜上の結膜まで覆うレンズは存在するが、当該疾患に関し有効な治療法が確立されていなかった。本医療器具は世界で初めて保険適応となる治療法を開発した点で特筆すべき事例に値する。</p> <p>➤ 「リンパ脈管筋腫症に対するラパマイシンの薬事承認取得」：</p> <p>リンパ脈管筋腫症患者に対しラパマイシンを用いた医師主導治験を実施し製造販売承認に至った。本件は国内外に有効な治療法が確立されていなかった当該疾患に対し、世界で初めて保険適応となる治療法を開発した点で特筆すべき事例に値する。</p> <p>➤ 「内転性痙攣性発声障害に対するチタンブリッジの薬事承認取得」：</p> <p>内転性痙攣性発声障害に対し医師主導治験を実施し、製造販売承認に至った。本件は先駆け審査指定制度薬事承認第一号である点でも特筆に値する。</p> <p>➤ 「タウリンによる MELAS 脳卒中様発作再発抑制療法の実用化」：</p> <p>医師主導治験を実施し、製造販売承認に至った。本件は国内外に有効な治療法が確立されていなかった当該疾患に対し、日本で初めて保険適応となる治療法を開発した点で特筆すべき事例に値し、研究機関と共同でプレスリリースを実施した。</p> <p>➤ 「新規治療標的分子 LRG の炎症性腸疾患における役割の解明と創薬への応用」：</p> <p>ロイシンリッチα2 グリコプロテイン（以下、LRG）が炎症性腸疾患の疾患活動性マーカーとなることを発見</p>			
--	--	--	--	--	--	--

				<p>し、「炎症性腸疾患の疾患活動性評価の血清バイオマーカー」として開発をすすめ、体外診断用医薬品として製造販売承認に至った。これまで有効な血清バイオマーカーがなく疾患活動性の迅速な評価が不可能だったが、本承認により血液検査での炎症性腸疾患の迅速な活動性評価が可能となった点が特筆すべき事例にあたり、研究機関と共同でプレスリリースを実施した。今後は、炎症性腸疾患以外に、バイオ製剤使用時の関節リウマチなど様々な炎症性疾患への応用も期待されている。</p> <p>➤ 「デュシェンヌ型筋ジストロフィーに対する NS-065/NCNP-01 (viltolarsen)の承認取得」: ジストロフィン遺伝子のエクソン 53 スキップを目的としたアンチセンス核酸であり、当事業が支援したバイオマーカーを用いた治験により国内では令和二年 2 月 28 日に薬事・食品衛生審議会医薬品第一部会で承認が了承され、米国においても令和元年 10 月に承認申請が実施されている。</p> <p>➤ 「HAM・HTLV-1 陽性難治性疾患の診療ガイドラインに資する統合的レジストリの構築によるエビデンスの創出」: 腎移植におけるヒト T 細胞白血病ウイルス I 型 (以下、HTLV-1) 感染症の危険性に関する全国調査を実施し、HTLV-1 の未感染者が HTLV-1 の感染ドナーから腎移植を受けると、高頻度で HTLV-1 に感染するだけでなく、神経難病である HTLV-1 関連脊髄症 (HAM) を移植後数年の間に高い頻度で発症する危険性があることを示し、国際医学雑誌 The NEW ENGLAND JOURNAL of MEDICINE に発表した。本成果により腎臓を始め各臓器の移植ガイドラインにも大きな影響を及ぼすと考えられ、より安全な移植医療の整備に貢献することが期待されている。</p> <p>・その他、事業運営の改善及び若手研究者の支援として以下の取組を行った。</p> <p>➤ 課題の事前評価においては、公募要領にターゲット・プロダクト・プロフィールの記載を追加する等、研究者が研究計画を戦略的に考える機会を設定し事前評価にて開発の必要性や可能性を具体的</p>			
--	--	--	--	--	--	--	--

				<p>に評価できる仕組みを導入していたが、更に今年度はステップ1課題及びステップ2課題においては実施済み及び実施予定の非臨床試験の概要とガントチャートとプロトコルを提出することを必須とし、研究計画の充足性、効率性及び実行可能性を評価できる型式とした。</p> <p>➤ パイプラインの分析を実施し、PSP0 会議にてフェーズ毎の最適シーズ数の試算と今後の公募設計への反映を決定のうえ、それに参考に公募枠毎の採択数を決定した。</p> <p>➤ 若手研究者の育成に関する取組として、若手研究者が研究開発代表者として研究を推進する公募（若手枠）を実施した。また、過去の若手枠で採択された若手研究者を対象に、教育講演と進捗ヒアリングを実施した。教育講演では捏造と誤解されないための適切な画像処理に加え、病態解明後に必要な知識であるシーズ最適化と非臨床試験の実務についての内容や、令和元年度は企業でのビッグデータ創薬（AI 活用を含む）の実態に加え、企業ではなく研究者が主導し基礎研究から医師主導治験を経て承認取得を達成した実例（新潟大学中田光教授）を外部演者として用意し、加えて次ステップ（ステップ0）で評価の高い研究者より研究の進め方についての講演を企画した。進捗ヒアリングでは相互評価方式という第三者的な視点にて自身の研究を評価できるトレーニング機会を設け研究者育成を推進した。</p> <p>➤ 中枢神経疾患に対する医薬品開発を加速すべく、日本ブレインバンクネットで集積している剖検脳等を用いることを条件とした公募を実施し3課題採択した。これにより創薬候補物の探索や、創薬候補物の最適化に向けた各種疾患モデルでの病態再現の補完等により、疾患の病因・病態機序に基づくシーズ探索やバイオマーカー研究の発展が期待できる。</p> <p>➤ 「医薬品条件付き早期承認品目該当性相談」を活用して治療薬開発の早期実用化が達成できるよう、有効性の代替エンドポイントになりえるバイオマーカーの開発を目標とする公募を実施し2課題採択した。</p> <p>➤ 糖鎖領域の研究成果を希少難病領域での研究に生</p>			
--	--	--	--	--	--	--	--

				<p>かすべく、糖鎖研究を中心とした糖鎖ステップ0と糖鎖検査ステップ0の公募を実施し4課題を採択した。</p> <p>・遺伝子治療の研究開発促進を目的として、創薬戦略部による「遺伝子・細胞治療研究開発基盤事業」と連携し、本領域に造詣の深いPOを新たに委嘱し評価委員会の体制も整備した上で新規シーズ探索の公募を実施し、5課題採択した。ゲノム医療実現推進に関するアドバイザリーボードによる「遺伝子治療の研究開発の推進について（アドバイザリーボードでの議論とりまとめ）」の議論を受け、医薬品研究課「再生医療・遺伝子治療の産業化に向けた基盤技術開発事業」との連携のため「遺伝子治療研究交流会」（令和元年12月11日）、国際事業部と連携し米国、シンガポールのKOL招聘による「AMED Gene &amp; Cell Therapy Symposium」を開催（令和2年2月22日）し、本領域におけるサイエンスと医療実装に関する議論を実施した。。</p>			
	<p>また、疾患特異的iPS細胞を用いて疾患の発症機構の解明、創薬研究や予防・治療法の開発等を推進することにより、iPS細胞等研究の成果を速やかに社会に還元することを目指す。</p>	<p>また、難病患者由来の疾患特異的iPS細胞を用いて疾患の発症機構の解明、創薬研究や予防・治療法の開発等の推進を行う。</p>	<p>＜評価軸＞</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・疾患特異的iPS細胞を用いて疾患の発症機構の解明、創薬研究や予防・治療法の開発等を推進したか。</li> </ul> <p>＜モニタリング指標＞</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・左記の評価軸に係る取組状況等</li> </ul>	<p>■疾患特異的iPS細胞を用いた疾患の発症機構の解明、創薬研究や予防・治療法の開発等</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・ステップ2として「iPS細胞創薬に基づいた新規筋萎縮性側索硬化症(ALS)治療薬であるロピニロール塩酸塩の実用化第1/2a相試験」を採択し、iPS細胞モデルを駆使して見出した治験薬（ロピニロール塩酸塩）による医師主導治験を開始した。</li> <li>・「自己炎症性症候群 Blau 症候群と中條西村症候群の病態解析と新規治療標的探索」において、iPS/ES細胞をCRISPR/Cas9ゲノム編集技術を用いて作製し、中條西村症候群患者さん由来iPS/ES細胞から作製した単球系細胞を用いた解析により中條西村症候群の病態再現に成功した。本成果は国際幹細胞学会（ISSCR）が発行する科学誌「Stem Cell Reports」にてオンライン公開された。</li> </ul>	<p>【疾患特異的iPS細胞を用いた疾患の発症機構の解明、創薬研究や予防・治療法の開発等】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・疾患特異的iPS細胞を用いた難病研究での成果を、難治性疾患実用化研究事業が受け皿となる形で実用化への研究が継続する中で、病態解明から治療候補薬の同定に至る等、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。</li> <li>・iPS細胞創薬という革新的な手法を通じ、従来手法（動物モデル）をスキップした医師主導治験への移行を達成した。さらに、有効性のサロゲートエンドポイントや事前の効果判定に利用可能なバイオマーカー探索を研究に含める公募を含めることで、開発計画の更なる進展を加速させた。</li> </ul>		
		さらに、データ		■希少疾患や未診断疾患に関する研究	【希少疾患や未診断疾患に関する研		



		<p>ネットワークや解析コンソーシアムの整備、診断委員会を運営する拠点病院の整備など希少・未診断疾患に対する全国規模の診断体制を構築するための研究を推進する。</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>・平成 30 年度、難治性疾患実用化研究事業において、未診断疾患イニシアチブ（IRUD）として AMED が平成 27 年度に開始し、AMED がその推進に特に主体的に関わる研究課題として、IRUD コーディネーティングセンターを募集し、従来 AMED が担っていた調整機能の多くを移管する仕組みを整え、研究体制をコーディネートする体制へと進展した。</li> <li>・上記を実施した結果として得られた主要な研究上の成果及び AMED が主体的に関わることで得られた成果として、35 の大学病院に診療科横断的診断委員会を設置する等、全国の大学病院、地域中核病院を含む全国を網羅する診断ネットワークは、37（診断）拠点病院と 453 協力病院の計 490 施設となり、通常の医療体制では診断が困難な患者の解析実績は累計で 4,658 家系（令和元年 9 月末時点）。</li> <li>・症例情報の国際共有を念頭に IRUD に最適化したシステム IRUD Exchange では、日本国内での情報共有を行い、国内の検討のみでは確定診断に至らなかった症例について、適宜、表現型・候補遺伝子名（個人情報を含まない要約情報）を Matchmaker Exchange 等の国際的な情報共有システムを通じて共有する等の取組により、研究上の国際協力等を推進した。これにより、2 疾患の確定診断（論文準備中）ができた。</li> <li>・AMED で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等の取組と連携し、中央治験・倫理審査委員会（CIRB）を活用した審査を先駆的に実施し、37 の拠点病院の 31 施設で審査承認を得、1 施設で準備中であり、自施設で倫理審査を実施している 5 施設と合わせて IRUD 体制整備を促進した。</li> <li>・次世代シーケンサーでの解析能力を有する既存の機関（遺伝子拠点研究）と連携の上、国際標準の患者表現型・ゲノム情報データネットワークと 5 つの解析センターによって構成されるコンソーシアムとを有機的に連携させた IRUD 診断体制の構築を推進した。</li> <li>・AMED がその推進に特に主体的に関わった以上の取組により、IRUD 解析センターにおける解析での確定診断率は 43.8%であった（令和元年 9 月末時点）。新規疾患原因遺伝子変異の同定・公開は累計 29 件に達した。</li> <li>・その一方で、IRUD の研究開発代表者及び核となる研</li> </ul>	<p>究】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・37 の大学病院に診療科横断的診断委員会を設置する等、全国の大学病院、地域中核病院を含む全国を網羅する診断ネットワークは 490 施設に拡充し、診断困難な 4,658 家系の登録を達成した。</li> <li>・KPI 目標である 5 件を大幅に超える 29 件の新規疾患原因遺伝子変異の同定・公開し、現在もその成果は増加し続けている。</li> <li>・モデル生物コーディネーティングセンターの設置により、ショウジョウバエやゼブラフィッシュ等の研究者と臨床研究者を連携させ、未解明の遺伝子の機能解析を大幅に加速させた。</li> <li>・Matchmaker Exchange 等の国際的な情報共有システムを通じ研究上の国際協力等を推進するとともに、IRDIRC の加盟機関総会への参加や各種タスクフォースへの参加を通じて情報共有に努めた。</li> <li>・国際的な情報共有システムを利用することで、通常診療では困難であった既存難病の診断が可能になるとともに、日本のデータにより海外での診断が可能となった。</li> </ul> <p>【難病プラットフォーム】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・公開シンポジウムやレジストリ運営に必要な SOP や共通様式等の提供等のレジストリ構築支援を実施することで、40 以上の研究班が難病プラットフォームを活用するとともに、企業連携に関するマッチング活動が開始された。</li> </ul>	
--	--	---	---	---	--

			<p>研究者、並びに機構内関係部署の間で緊密な意思疎通を図るべく、最上位に位置づけられる推進会議、機構内のタスクフォース会議等を開催し、これらの機会等を通じて AMED 自ら積極的な研究支援を行った。未診断疾患イニシアチブの成果を発展させる研究（IRUD Beyond）分野では、治療等への橋渡しを目指す Beyond diagnosis、診断成功率の更なる向上を目指す Beyond genotyping さらなるデータシェアリング等による国際連携を推進する Beyond borders への取組を継続した。このうち、Beyond diagnosis では、平成 30 年度に採択した 3 課題を継続支援している。また、モデル生物コーディネーティングネットワーク（J-RDMM）の整備推進を行い、IRUD 解析結果から示唆された疾患原因遺伝子の候補について病態への影響をモデル生物を用いて検証すべく、モデル生物研究者のレジストリを構築した。全国より 84 名のモデル生物研究者の登録を完了し（令和元年 12 月時点）、当初想定を大きく超え、103 遺伝子に関するマッチングを達成した。また、40 遺伝子に関する機能喪失変異（loss of function: LOF）、3 遺伝子に関する機能獲得変異（gain of function: GOF）を明確にすることができた（令和元年 7 月時点）。IRUD と IRUD Beyond は、IRUD による診断確定という臨床ニーズに対応すべく、モデル生物コーディネーティングネットワーク（IRUD Beyond 課題）による遺伝子機能解析から遺伝子治療のシーズ開発（IRUD Beyond 課題、病態解明・実用化課題）へ、という事業設計で推進中であり、これは AMED が掲げるリバーストランスレーショナル研究を事業レベルで具現化できた例であると考えられる。</p> <p>・ 国際的な情報収集及び日本からの提言・発信、そして国内の希少疾患・難治性疾患の研究開発推進を目的として、国際希少疾患研究コンソーシアム（IRDiRC）に関する各種取組を実施した。第 7, 8 回加盟機関総会（Consortium Assembly）にも参加し、IRDiRC Goal 2027 達成に向けた取組に対して共同すると共に、日本での希少疾患、特に難病に関する研究開発動向を加盟機関代表等参加者間で共有した。Goal 達成に向けた各種 TF の立ち上げ、今までに TF（Database of research projects and analysis tools, Orphan drug development</p>			
--	--	--	--	--	--	--

				<p>guide, Clinical research network) への協力と、日本から有識者の参加をすすめ情報共有に努めた。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・症例の国際的な情報共有 (Matchmaker Exchange) の Connected Nodes に正式に IRUD が登録され、日本国内での検討のみでは確定診断に至らなかった事例についても国際連携を推進し、2 つの新規疾患の発見に至った。</li> </ul> <p>■難病プラットフォーム</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・レジストリ運営に必要な SOP や共通様式等の提供を開始し、実際に 40 以上の研究班に対しレジストリの構築支援を開始するとともに、企業等との連携を希望する研究班に向けたマッチング支援を開始した。</li> </ul>			
	<p>これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・新規薬剤の薬事承認や既存薬剤の適応拡大を11 件以上達成 (ALS、遠位型ミオパチー等)</li> <li>・欧米等のデータベースと連携した国際共同臨床研究及び治験開始</li> <li>・未診断又は希少疾患に対する新規原因遺伝子又は新規疾患の発見を5 件以上達成を目指すものとする。</li> </ul>	<p>これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・新規薬剤の薬事承認や既存薬剤の適応拡大を11 件以上達成 (ALS、遠位型ミオパチー等)</li> <li>・欧米等のデータベースと連携した国際共同臨床研究及び治験開始</li> <li>・未診断又は希少疾患に対する新規原因遺伝子又は新規疾患の発見を5 件以上達成を目指すものとする。</li> </ul>	<p>＜評価指標＞</p> <p>【2020 年までの達成目標】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・新規薬剤の薬事承認や既存薬剤の適応拡大を 11 件以上達成 (ALS、遠位型ミオパチー等)</li> <li>・欧米等のデータベースと連携した国際共同臨床研究及び治験の開始</li> <li>・未診断又は希少疾患に対する新規原因遺伝子又は新規疾患の発見を 5 件以上達成</li> </ul>	<p>■医療分野研究開発推進計画 達成すべき成果目標 (KPI)</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・新規薬剤の薬事承認や既存薬剤の適応拡大件数：累計 7 件 (薬事・食品衛生審議会医薬品第一部会 [R2 年 2 月 28 日] での承認の了承を含む)</li> </ul> <p>これらの他、患者を対象とした治験を実施している課題が多数あり、今後更なる医薬品、医療機器等の薬事承認 (実用化) が期待される。</p> <p>(内訳 (過年度の成果を含む。))</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・甲状腺骨固定用器具「チタンブリッジ」(平成 29 年 12 月承認)</li> <li>・重症多型滲出型紅斑眼傷害に対する輪部支持型ハードコンタクトレンズ「サンコン Kyoto-CS」(平成 28 年 2 月承認)</li> <li>・神経・筋難病に対する下肢装着型補助ロボット「HAL 医療用下肢タイプ」(平成 27 年 11 月承認)</li> <li>・リンパ脈管筋腫症に対する mTOR 阻害剤「ラパリムス錠 1mg」(平成 26 年 7 月承認)</li> <li>・「ミトコンドリア脳筋症・乳酸アシドーシス・脳卒中様発作 (MELAS) 症候群」に対するタウリン散 98%「大正」(令和元年 2 月承認)</li> <li>・「炎症性腸疾患の疾患活動性評価の血清バイオマーカー」としての「ナノピア®LRG」(平成 30 年 9 月承認)</li> <li>・「デュシェンヌ型筋ジストロフィー」に対する NS-065/NCNP01 (令和二年 2 月 28 日 薬事・食品衛生</li> </ul>	<p>【医療分野研究開発推進計画 達成すべき成果目標 (KPI)】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・KPI については他事業のレベルを大幅に超える厳しい条件を設定されているにも関わらず、新規原因遺伝子又は新規疾患の発見は 5 件の目標値に対して 29 件と 580%以上の達成、1 件の国際共同臨床研究については目標を達成のうえ現在も順調に被験者登録が進んでいる。更に、薬事承認取得については 11 件に対し 7 件という累計になっている。これは「製薬産業 2018-2019 てきすとぶつく (日本製薬工業協会)」における 25 社への調査で 2012 年-2016 年の承認取得数が低分子医薬品の薬事承認取得が 26 件(1 年あたり 1 社で約 1 件)であったとの実績と比較しても優れた成果と言える。</li> <li>・本年度中に 2 課題が開鍵予定であり、医師主導治験を実施中ないし実施準備している課題が 23 課題と豊富な開発後期パイプラインを構築できていることから、今後も承認取得の増加が期待でき、優れた成果と言える。</li> </ul>		

			<p>審議会医薬品第一部会で承認)</p> <p>＜モニタリング指標＞</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・応募件数及び採択件数</li> <li>・事業に参画している研究者延べ人数</li> <li>・PMDA への薬事戦略相談を行った研究開発課題数</li> <li>・機動的な研究推進のため年度内に契約変更を実施した課題数</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>・その他： 希少疾患による歩行障害改善において「HAL®医療用」が EU で医療機器として CE 適用拡大となった。(平成 29 年 1 月)、そのデータには本事業で支援した日本における医師主導治験成績が利用されている。</li> <li>・原発性免疫不全症の新規疾患概念である STAT1 異常症 2 例について、確定診断後の病態解明を通じて行った骨髄移植により救命することができた (Journal of Allergy Clinical Immunology, 2018)。(その他、新規に見出された原発性免疫不全症の新規疾患概念等 39 例についても、確定診断が、新規治療の導入に繋がっている。)</li> <li>・日本初の眼科領域における網膜色素変性に対する遺伝子治療の医師主導治験を開始した(令和元年 6 月)。</li> <li>・「自己免疫性肺胞蛋白症」の病因解明にもとづく国内初のサイトカイン吸入療法を NEJM に報告し導出活動を加速 (令和元年 9 月)</li> <li>・ロングリード・シークエンサーにより神経核内封入体病 (NIID) の原因は” NOTCH2NLC (ヒト特異的遺伝子) “の GGC リピート伸長であることを発見した。本手法が病気の原因遺伝子を同定できることを実証したことで、本技術が未解決の遺伝病の遺伝的な原因解明への突破口を開く可能性を提示。(令和元年 7 月)</li> <li>・欧米等のデータベースと連携した国際共同臨床研究及び治験の開始：難治性疾患実用化研究事業において以下の取組が進行中である。</li> </ul> <p>HTLV-1 関連骨髄症 (HAM) に対するステロイド製剤 (平成 28 年 7 月 27 日治験届提出)：ステロイド製剤の国際共同治験では、平成 28 年度の患者登録開始以来、令和 2 年 3 月時点で急速進行群は目標例数 8 例を達成、緩徐進行群は 40 例中 28 例の投与を開始し、盲検下レビューにて現時点で開鍵が可能であることが示唆されたため、PMDA と早期終了について協議中である。</p> <p>・未診断又は希少疾患に対する新規原因遺伝子又は新規疾患の発見件数：</p>			
--	--	--	---	---	--	--	--

				<p>現時点累計：29 件（H30 年度まで 15 件） （内訳（過年度の成果を含む。））</p> <p>① 武内-小崎症候群：CDC42 遺伝子</p> <p>② 小崎 Overgrowth 症候群：PDGFRB 遺伝子</p> <p>③ 無巨核球性血小板減少症を伴うとう尺骨癒合症：EVI1 遺伝子</p> <p>④ Schimmelpenning-Feuerstein-Mims 症候群：BRAF 遺伝子</p> <p>⑤ ZTTK 症候群：SON 遺伝子</p> <p>⑥ Bosma arhinia microphthalmia 症候群：SMCDH1 遺伝子</p> <p>⑦ Hydranencephaly-like severe form of cortical dysgenesis:TUBA1A 遺伝子</p> <p>⑧ Intellectual disability with seizures and hypotonia: PIGG 遺伝子</p> <p>⑨ West 症候群: WDR45 遺伝子</p> <p>⑩ Clinical features of SMARCA2 duplication overlap with Coffin-Siris Syndrome：SAMRCA2 遺伝子</p> <p>⑪ Pontocerebellar hypoplasia：TOE1 遺伝子</p> <p>⑫Gabriele-de Vries syndrome 症候群：YY1 遺伝子</p> <p>⑬ 難治性てんかんと多発奇形症候群の異なる②疾患：PPP3CA 遺伝子</p> <p>⑭ ステロイドに反応性を示す一次性ネフローゼ症候群：ITSN2 遺伝子</p> <p>⑮ 新規ガラクトース血症（Type IV）：GALM 遺伝子</p> <p>⑯痙性対麻痺、知的障害、脳形成異常を持つ新規奇形候群：MAPK8IP3</p> <p>⑰大頭症＋胸郭変形＋知的障害：AFF3 遺伝子</p> <p>⑱West 症候群：FGF12 重複遺伝子</p> <p>⑲Noonan 症候群：RRAS2 遺伝子</p> <p>⑳乳幼児てんかん＋知的障害：NSF 遺伝子</p> <p>㉑特異顔貌＋知的障害：CNOT2 遺伝子</p> <p>㉒intellectual disability,epilepsy and autism：SETD18 遺伝子</p> <p>㉓短縮型 SMC1A 変異関連難治性てんかん:SMAC1 遺伝子短縮型変異</p> <p>㉔Noonan 症候群：MRAS 遺伝子変異</p> <p>㉕Cole-Carpenter 症候群：SEC24D 遺伝子</p> <p>㉖Severe apnea and sick sinus 症候群：MECP2 遺伝子</p> <p>㉗early childhood-onset type 1B diabetes：KLF11 遺</p>			
--	--	--	--	---	--	--	--

				伝子 ⑳ global developmental delay with seizures : CSNK2A1/CSNK2B 遺伝子 ㉑ OFD syndrome : IFT172 遺伝子			
--	--	--	--	---	--	--	--

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)―⑩	(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 ⑩健康・医療戦略の推進に必要なとなる研究開発事業		
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 899-10）

2. 主要な経年データ													
	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		911 件	1, 219 件	1, 247 件	1, 409 件	1, 267 件	予算額（千円）	24, 855, 171	87, 306, 240	63, 597, 837	52, 592, 698	25, 922, 211
	採択件数		150 件	281 件	203 件	251 件	216 件	決算額（千円）	24, 427, 531	26, 379, 702	34, 882, 259	39, 639, 378	37, 132, 485
	シンポジウム等の開催件数		10 件	147 件	49 件	50 件	42 件	経常費用（千円）	24, 864, 653	26, 496, 041	30, 639, 396	33, 935, 141	25, 934, 913
	サイトビジット（班会議、研究者打合せ参加）回数		219 回	591 件	708 件	735 件	554 件	経常利益（千円）	15, 566	492, 669	583, 790	2, 027, 242	3, 502, 296
	PS/PO 会議実施回数		62 回	89 件	53 件	53 件	41 件	行政サービス実施コスト（千円）	23, 507, 646	25, 041, 547	30, 054, 075	28, 181, 060	29, 140, 656
								従事人員数	31 人	42 人	49 人	66 人	60 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	A	評価	
	統合プロジェクト以外の事業であって、複数の疾患領域における研究の基盤的な性質を有する研究開発であるなど横断的な取組を「横断型事業」、社会的・臨床的に医療上の必要	統合プロジェクト以外の事業であって、複数の疾患領域における研究の基盤的な性質を有する研究開発であるなど横断的な取組を「横断型事業」、社会的・臨床的に医療上の必要		■糖尿病などの生活習慣病、脳卒中を含む循環器疾患、呼吸器系疾患、筋骨格系・結合組織疾患、泌尿器系疾患に係る研究 【診療支援や新たな医薬品・医療技術等の創出に資する研究開発】 ・循環器・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業では、A I などの新技術を用いてビッグデータを解析することにより、生活習慣病の発症・重症化予測の開発を推進してきた。 【新たな画期的シーズの育成に向けた革新的先端研究開発】 ・循環器・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業では、心不全患者の予後や治療応答性に関与するマーカー、糖尿病腎症の発症・	＜評価と根拠＞ 評価：A A I による診断等の支援も視野に、世界に類を見ない複数学会主導の医療画像データのデータベース構築等に関する研究を推進した。 6 学会に国立情報学研究所が参画し、同研究所が構築・	＜評価に至った理由＞ ・中長期目標・計画の実施状況については、健康・医療戦略の推進に必要なとなる研究開発を進める中で、異なる 6 学会を取りまとめて悉皆性のある画像等データベースを構築する研究や診断・研究目的の AI 開発のための基盤整備に関する研究			

	<p>性・重要性が高い疾患領域に関する取組を「疾患領域対応型事業」とする。各事業に関連した取組は以下のとおり。</p> <p>＜横断型事業＞</p> <p>各疾患領域における研究の基盤構築を目指した研究開発として、健康・医療戦略推進本部が中心となつて行う横断的な検討に基づき、医療・介護等のデジタルデータの利活用基盤の構築を進めるとともに、収集された臨床ビッグデータを集積・共有し、人工知能技術を活用することによって、診療支援や新たな医薬品・医療技術等の創出に資する研究開発を推進する。</p> <p>臨床現場で見出した課題を基礎研究に戻すリバース T R やヒト由来の臨床検体の使用等による産学官連携の循環型研究開発を活性化させる。</p> <p>将来の医薬品、医療機器及び医療技術等の実現に向けて期待の高い、新たな画期的シーズの育成に向けた革新的先端研究</p>	<p>性・重要性が高い疾患領域に関する取組を「疾患領域対応型事業」とする。各事業に関連した取組は以下のとおり。</p> <p>＜横断型事業＞</p> <p>各疾患領域における研究の基盤構築を目指した研究開発として、健康・医療戦略推進本部が中心となつて行う横断的な検討に基づき、医療・介護等のデジタルデータの利活用基盤の構築を進めるとともに、収集された臨床ビッグデータを集積・共有し、人工知能技術を活用することによって、診療支援や新たな医薬品・医療技術等の創出に資する研究開発を推進する。</p> <p>臨床現場で見出した課題を基礎研究に戻すリバース T R やヒト由来の臨床検体の使用等による産学官連携の循環型研究開発を活性化させる。</p> <p>将来の医薬品、医療機器及び医療技術等の実現に向けて期待の高い、新たな画期的シーズの育成に向けた革新的先端研究</p>	<p>＜評価軸＞</p> <p>・健康・医療戦略推進本部が中心となつて行う横断的な検討に基づき、医療・介護等のデジタルデータの利活用基盤の構築を進めるとともに、収集された臨床ビッグデータを集積・共有し、人工知能技術を活用することによって、診療支援や新たな医薬品・医療技術等の創出に資する研究開発を推進したか。</p> <p>・臨床現場で見出した課題を基礎研究に戻すリバース T R やヒト由来の臨床検体の使用等による産学官連携の循環型研究開発を活性化させたか。</p> <p>・将来の医薬品、医療機器及び医療技術等の実現に向けて期待の高い、新たな画期的シーズの育成に向けた革新的先端研究開発を推進したか。</p>	<p>重症化に関与する複数のバイオマーカーを同定した。</p> <p>【画期的シーズの育成に向けた革新的先端研究開発の推進】</p> <p>・腎疾患実用化研究事業では、 ステージゲートを利用した課題管理を導入し、C-メガリンが糖尿病性腎症進展のマーカーであることを同定し、創薬に向けた研究開発を進めるなど、複数の成果を得た。</p> <p>■高齢者の生活の質を大きく低下させる疾患に係る研究</p> <p>＜長寿科学研究開発事業における取組＞</p> <p>・高齢者に特徴的な疾病・病態等に着目し、総合的な治療アプローチの確立を目指し、介護予防や要介護度の重症化予防について効果的な手法を検討・普及するとともに、高齢者の日常生活を支えるために必要な研究を推進した。</p> <p>・これまでに得られた主な成果は以下の通りである。</p> <p>➤ 多剤処方の弊害について啓発を図るため、一般高齢者向けの啓発パンフレットを作成し、老年医学会と老年薬学会のホームページに掲載した。</p> <p>➤ 住民ボランティアや市町村、地域包括支援センター職員などを対象に 地域診断ツールを活用した「見える化」 システムの研修を行い、標準化を目指したプログラム開発や資料収集、プロセス・アウトカム評価の検証等を行った。</p> <p>➤ 医療・介護保険のレセプトデータを個人レベルで突き合わせ、匿名かされた状態で研究利用することで、高齢者の医療・介護にまたがる医療経済研究を可能とした。一つの成果として、高齢者における複数の慢性疾患併存は、年間医療費のみならず、年間介護給付費の増大とも関連があることを見いだした。</p> <p>・循環器・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業では、サルコペニアの発症・重症化メカニズムを解明することで、治療のための新たなシーズ探索を目的とした基礎研究を推進した。また、高齢者のエネルギー消費量を適切に評価するための研究を推進し、高齢者特有の病態解明に寄与した。</p> <p>・循環器・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業では、循環器疾患における緩和ケアの現状を明らかにするとともに、緩和ケアの質の評価指標を策定することにより緩和ケアの質向上に貢献した。また、循環器疾患における QOL の現状を明らかにするとともに、QOL の評価指標を策定することにより、QOL 向上に貢献した。</p> <p>■口腔の疾患に係る研究</p> <p>＜長寿科学研究開発事業における取組＞</p> <p>・高齢者に特徴的な疾病・病態等に着目し、複合的・総合的な治療のアプローチの確立を目指し研究開発を推進した。</p>	<p>運営する学術情報ネットワーク SINET5 を活用して、より均質性の高いデータを集積する取組を行った。革新的先端研究開発支援事業（AMED-CREST、PRIME、LEAP）では、インパクトの高い成果が多数創出されるとともに、事業運営においても国際連携の成果から事業領域の設定など積極的な改革を行った。成育疾患克服等総合研究事業（BIRTHDAY） 、女性の健康の包括的支援実用化研究事業（Wise）の合同シンポジウムで提唱されたライフステージに応じた健康課題の克服という構想を展開させ、政府方針とも合致し、成育分野の研究の充実を図ることとなった。疾病に対応した研究では、糖尿病性網膜症の新規治療薬、iPS 再生腎臓、食物アレルギーの新規治療法、エイズ及び肝炎対策等の成果が多数創出され、産学連携医療イノベーション創出推進プログラム（ACT-M）、研究成果最適展開支援プログラム（A-STEP）でも、薬事承認の取得等、着実に実用化に向けた成果をあげるなど、基礎研究から実用化までを推進し患者へ成果を届けるという AME D のミッションに貢献した。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。なお、平成 28</p>	<p>開発を進め、世界的競争力を持つ日本初の医療用 AI 研究開発の発展につながることを期待されるなど大きな成果を上げており、「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ため、評定を A とする。</p> <p>・複数の疾患領域における研究の基盤的な性質を有する研究開発であるなど横断的な取組である「横断型事業」及び社会的・臨床的に医療上の必要性・重要性が高い疾患領域に関する取組である「疾患領域対応型事業」をそれぞれ推進した。</p> <p>・具体的には、6 学会を取りまとめて悉皆性のある画像等データベースの研究を進める際に、国立情報学研究所の参画のもと、より均質性の高いデータを集積する取組を行うことで、世界で類を見ない学会連携の DB 基盤の仕様が定めたことや、診断・研究目的の AI 開発のための基盤整備に関する研究開発を行ったことは高く評価できる。これにより、AI による診断・治療支援のための基盤構築が加速され、世界的競争力を持つ日本初の医療用 AI 研究開発の発展につながることが期待される。</p> <p>・革新的先端研究開発支援事業（AMED-CREST、PRIME、LEAP）において、成果の最大化を図るための、臨床・応用研究者と</p>
--	---	---	--	---	---	--



開発を推進する。 幅広い研究開発を安定的かつ効果的に促進するために不可欠な生物資源等を戦略的・体系的に整備するとともに、研究開発等の国際展開を推進する。	開発を推進する。 幅広い研究開発を安定的かつ効果的に促進するために不可欠な生物資源等を戦略的・体系的に整備する。 主要な海外ファンディング機関との協力協定や海外事務所も活用して研究開発等の国際展開を推進する。	・幅広い研究開発を安定的かつ効果的に促進するために不可欠な生物資源等を戦略的・体系的に整備するとともに、研究開発等の国際展開を推進したか。  ＜評価指標＞ ・健康・医療戦略推進本部が中心となっていく横断的な検討に基づく、医療・介護等デジタルデータの利活用基盤の構築状況 ・臨床ビッグデータの集積・共有し、人工知能技術を活用することによっていく診療支援や新たな医薬品・医療技術等の創出に資する研究開発の取組状況 ・リバーズ TR やヒト由来の臨床検体の使用等の循環型研究開発の産学官連携の循環型研究開発の活性化への取組状況 ・将来の医薬品、医療機器及び医療技術等への新たな画期的シーズの育成に向けた革新的先端研究開発の取組状況	・これまでの主な成果は以下の通りである。 8020 運動の達成者が増加する一方で、自立した口腔ケアが困難となり口腔疾患罹患率が高まるなど、多様化する高齢者の口腔内環境へ対応するべく、高齢者の口腔疾患についての研究を推進した。口腔ケア「困難事例」とされる、認知症の病態に応じた、口腔管理及び栄養ケアマネジメントに資する知見を収集し、エビデンスに基づく適切な歯科診療を含む口腔管理及び栄養ケアマネジメントに関するガイドラインを研究・開発を行った。  ■小児・周産期の疾患に関する研究 ・小児・周産期の疾患（成育疾患克服等総合研究事業）については、各年度において、推進中の研究開発課題について下記の通り委託研究開発契約を締結し、基礎からより実用化を目指した研究まで、幅広く実施した。 ・本事業においては、各年度において、公募テーマをそれぞれ設定し、下記の通りに採択を行った。	年度、平成 29 年度、平成 30 年度において予算額と決算額の差異が平成 28 年度は約 609 億円、平成 29 年度は約 287 億円、平成 30 年度は約 130 億円発生しているが、これは各年度共に補正予算により医療研究開発革新基盤創成事業のための政府出資金が増加したためであり、令和元年度において予算額と決算額の差異が約 112 億円発生しているが、これは過年度に受領した政府出資金を財源として事業を行い執行したためである。また、同事業の業績については評価項目Ⅰ（１）⑦「政府出資を利用した産学官共同での医薬品・医療機器の研究開発の推進」に記載し、評価を行っている。  【糖尿病などの生活習慣病、脳卒中を含む循環器疾患、呼吸器系疾患、筋骨格系・結合組織疾患、泌尿器系疾患に係る研究】 ・循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業では、ビックデータを活用した心不全等の生活習慣病の予後・重症化予測法の開発を推進した。また、糖尿病に対する複数の診断マーカー・創薬シーズを同定するなど着実な成果を挙げている。  【高齢者の生活の質を大きく低下させる疾患に係る研	のマッチングシステムの導入やヒト検体を用いた疾患絞り込み等を行う FORCE 事業の導入を AMED 主導で行ったことは高く評価できる。  ・また、小児・周産期の疾患に関する研究、女性に特有の健康課題に関する研究について、全国に分散する周産期・小児期の既存の各種データベースのリンケージ分析を行うなど、複数の事業と連携して課題解決に向けた取組を進めた点は高く評価できる。  ・なお、平成 28 年度、平成 29 年度、平成 30 年度において予算額と決算額の差異が平成 28 年度は約 609 億円、平成 29 年度は約 287 億円、平成 30 年度は約 130 億円発生しているが、これは各年度共に補正予算により医療研究開発革新基盤創成事業のための政府出資金が増加したためである。
---	--	--	---	---	--



会のニーズ、医療上及び経済上のニーズをも十分に意識しつつ、予防、診断、治療、生活の質の向上を目指す研究開発を推進する。さらに、高齢者に特有の疾患や老化・加齢メカニズムの解明・制御についての研究を推進する。	会のニーズ、医療上及び経済上のニーズをも十分に意識しつつ、予防、診断、治療、生活の質の向上を目指す研究開発を推進する。さらに、高齢者に特有の疾患や老化・加齢メカニズムの解明・制御についての研究を推進する。	疾患や老化・加齢メカニズムの解明・制御についての研究への取組状況  ＜モニタリング指標＞ ・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 ・左記の評価軸に係る取組状況	<p>な連携や効果的な事業推進を行った。</p> <ul style="list-style-type: none"><li>平成 30 年度春の調整費により立ち上がった周産期・小児期臨床研究推進基盤の体制により、多施設共同臨床研究・試験の促進を図った。具体的には、周産期新生児分野の自然歴を調査するため、周産期データベース整備を通じたリンケージデータベース構築、臨床試験実施体制ならびに on the job training を通じて自ら臨床研究を企画・実施できる人材育成基盤の構築、研究アイデアの募集による多施設共同研究の企画・実施を行った。</li><li>成育疾患克服等総合研究事業において、妊娠期や小児期に関わる研究開発は、そのリスクや特有の問題から他の分野に比して企業や民間主導では進みにくいという背景を踏まえ、令和元年度に臨床研究推進のための支援・連携体制基盤構築に着手。具体的には臨床研究治験現場における共通の課題を抽出しつつ、コホート研究とも連携し、継続的な研究課題の抽出と、介入ポイントの発見、発達障害の発見、介入や思春期の心身の問題の早期発見、診断に関わる医学的エビデンスの創出に資する研究基盤を構築した。</li><li>成育疾患克服等総合研究事業では、革新的先端研究開発支援事業における令和元年度新規発足領域「健康・医療の向上に向けた早期ライフステージにおける生命現象の解明」と、事業間連携を目的に、それぞれの事業の会議に別事業の PSP0 が出席するなど、PSP0 間での情報共有を行った。</li></ul> <p>■女性に特有の健康課題に関する研究</p> <ul style="list-style-type: none"><li>女性に特有の健康課題（女性の健康の包括的支援実用化研究事業）については、平成 27 年度 AMED における新規事業として立ち上げを行い、各年度において、推進中の研究開発課題について下記の通り委託研究開発契約を締結し、基礎からより実用化を目指した研究まで、幅広く実施した。</li><li>本事業においては、各年度において、公募テーマをそれぞれ設定し、下記の通りに採択を行った。採択にあたっては、いずれも書面評価、ヒアリングを行い、事前評価を行った。</li></ul> <table><tr><td>H27</td><td>公 募 テーマ</td><td>（本予算）平成 27 年度一次公募 女性ホルモンに着目した疫学研究および介入研究を用いた予防法の開発、性差に基づく至適薬物療法の検討、女性の健康向上に資するウェアラブル医療機器等の開発、および機器利用による診療の質向上に関する研究、子宮内膜症の病態解明、および予防・治療法の開発、エストロゲン低下にともなう骨粗鬆症の病態解明と予防、治療に関す</td></tr></table>	H27	公 募 テーマ	（本予算）平成 27 年度一次公募 女性ホルモンに着目した疫学研究および介入研究を用いた予防法の開発、性差に基づく至適薬物療法の検討、女性の健康向上に資するウェアラブル医療機器等の開発、および機器利用による診療の質向上に関する研究、子宮内膜症の病態解明、および予防・治療法の開発、エストロゲン低下にともなう骨粗鬆症の病態解明と予防、治療に関す	各年度において、公募テーマをそれぞれ設定し、応募数の増加を実現している。	<ul style="list-style-type: none"><li>調整費の骨太の取組の一つとして「子どもの健全な成育と疾患克服に資する研究」を立案し、障害者対策総合研究開発事業、東北メディカルメガバンク計画、ゲノム創薬推進研究事業、臨床ゲノム情報統合データベース整備事業と連携し、また、H30 年度の調整費により立ち上がった周産期・小児期臨床研究推進基盤の体制では、多施設共同臨床研究・試験の促進を図るなど、周産期・子ども領域に関連する研究事業の有機的な連携や効果的な事業推進を行った。</li><li>女性のライフコース疫学によって検討すべき健康事象とその規定因子とされる項目についての、ベースライン調査および定期的追跡調査の実施や、生殖関連要因および女性ホルモン等とがんや認知症との関連解析結果をまとめる複数の大規模多目的コホート研究なども実施した。また、近年技術革新の進んだウェアラブル機器により、女性の更年期特有の症状を把握する測定装置の開発、AI による女性の愁訴について適切な診断アルゴリズムを作成・実装に向けた研究など、女性に特有の健康課題につい</li></ul>		
H27	公 募 テーマ	（本予算）平成 27 年度一次公募 女性ホルモンに着目した疫学研究および介入研究を用いた予防法の開発、性差に基づく至適薬物療法の検討、女性の健康向上に資するウェアラブル医療機器等の開発、および機器利用による診療の質向上に関する研究、子宮内膜症の病態解明、および予防・治療法の開発、エストロゲン低下にともなう骨粗鬆症の病態解明と予防、治療に関す								

						<p>る研究、若年女性のスポーツ障害の解析とその予防と治療、女性の出産後メタボリックシンドローム発症のリスク因子同定と予防研究</p> <p>（本予算）平成 28 年度一次公募</p> <p>若年女性のスポーツ障害予防のための介入研究、出産後メタボリックシンドローム発症のリスク同定と予防研究</p> <p>（調整費による二次公募）</p> <p>日本赤十字社の献血血液を利活用する研究の推進</p>	<p>て、基礎からより実用化を目指した研究まで、幅広く実施した。</p>		
					応募数・採択数	応募数 42 件、採択数 14 課題			
				H28	公 募 テーマ	<p>（本予算）平成 29 年度一次公募</p> <p>発症頻度に性差のある疾患の機序解明と性差に基づく治療法の開発</p>	<p>【免疫アレルギーに関する研究】</p> <p>・2019 年 1 月に「免疫アレルギー戦略 10 か年戦略」（以下、「戦略」）が発出され、本研究領域におけるわが国の目指すべき目標とその実現のための方略が明らかにされた。</p> <p>・カビによる肺の組織線維化に至るメカニズムの解明による新たな治療標的候補の同定などの成果を得た。</p>		
					応募数・採択数	応募数 7 件、採択数 1 課題			
				H29	公 募 テーマ	<p>（本予算）平成 30 年度一次公募</p> <p>子宮・卵巣等に関する疾病・健康課題や更年期疾患等への女性ホルモンの影響、若年女性の心身に視点を置いた研究開発、女性の健康に資することが期待される男女共通の疾患における年齢および生物学的性差を加味した診断・予防法の開発と治療法の開発</p>	<p>【慢性の痛みを呈する疾患に関する研究】</p> <p>・痛みは主観的な感覚であるため、標準的な評価法や診断法、治療法が確立されておらず、診療体制も十分に整っていない現状があるが、難治性の慢性疼痛に悩む国民は多く、早急な痛み対策が求められている。本事業では、病態の解明等の基礎的な研究を進め、評価法等の開発につなげる研究を実施し、慢性の痛みに悩む患者の QOL 向上に繋がる開発研究を推進した。今後も適切な支援を継続することが期待される。</p>		
					応募数・採択数	応募数 24 件、採択数 4 課題			
				H30	公 募 テーマ	<p>（本予算）令和元年度一次公募</p> <p>月経随伴症状の疾患発症機序の解明及び月経随伴症状に対する薬物療法、女性の更年期以降に顕在化する心身の健康課題の病態解明と予防、プレコンセプションの女性に着目した疾患予防、女性の心身の状況を総合的に考慮した診療に資するツールの開発</p>	<p>【身体機能障害の代替・回</p>		
					応募数・採択数	応募数 11 件、採択 4 課題			
				R01	公 募 テーマ	<p>骨盤臓器脱、骨盤底筋関連疾患の効果的な診断・予防・治療技術の開発、性差を加味した新たな画像診断技術、生理学的検査の開発およびこれらを利用した新たな評価・診断アルゴリズムの開発</p>			

			<table><tr><td></td><td>応募数・採択数</td><td>応募数 7 件、採択 2 課題</td></tr></table>		応募数・採択数	応募数 7 件、採択 2 課題	<p>・H30 年度は、複数の大規模多目的コホート研究において、生殖関連要因および女性ホルモン等とがんや認知症との関連解析結果をまとめた。</p> <p>・女性のライフコース疫学によって検討すべき健康事象とその規定因子とされる項目について、ベースライン調査および定期的追跡調査で前向きに調査を行った。</p> <p>・近年技術革新の進んだウェアラブル機器により、女性の更年期特有の症状を把握する測定装置の開発、AI による女性の愁訴について適切な診断アルゴリズムを作成・実装に向けて、研究を実施した。</p> <p>・成育疾患克服等総合研究事業および女性の健康の包括的支援実用化研究事業については、研究開発実施にあたり、PSP0 のマネジメントによる PDCA サイクルをまわして着実に研究開発を推進した。具体的には、全ての研究開発課題の班会議に対し、PSP0 等が最低 1 名参加し、進捗管理、推進にあたった。事業の効率的運用のため、両事業で公募を合わせて行うとともに、評価委員の一部を兼任させるなどの連携を図り、一体的な運用を行った。</p> <p>■免疫アレルギーに関する研究</p> <p>・免疫アレルギー疾患実用化研究事業では、1 件の新規外用剤の製造販売承認に至った。国際レビューアーの導入をした。</p> <p>・免疫アレルギー疾患実用化研究事業においては、アトピー性皮膚炎及び関節リウマチを含む免疫疾患について、臨床情報と組織検体の標準化された収集方法及び組織学、トランスクリプトーム・エピゲノム等オミクス解析を統合した解析パイプラインの構築をするとともに、国際標準化を視野に入れた mRNA の発現ダイナミクスに基づく新たな mRNA-seq データベースシステムを構築した。</p> <p>・免疫アレルギー疾患実用化研究事業では、【リバース T R やヒト由来の臨床検体の使用等による循環型研究開発の活性化】：①慢性アレルギー性気道炎症等の線維化メカニズムについて、新規病態を解明し、新たなドラッグリポジショニングのためのシーズを得た。②疾患ゲノム情報と組織特異的マイクロ RNA 発現情報を統合するインシリコ・スクリーニング手法を開発し、関節リウマチの発症に係わる新規バイオマーカー候補 miRNA を同定した。③アトピーマーチの発症に係わる皮膚バリア機能異常の関与について、複数の課題により研究班連携の下、前向き臨床研究及びアト</p>	<p>復やリハビリテーションに資する新しい開発研究】</p> <p>・ALS 患者等を含む障害者のコミュニケーション支援機器が製品モデルとして完成するなど、障害全般に関するリハビリテーション等の適切な支援を提供することが期待される。また、末梢前庭障害に伴うめまい・平衡障害に対する新規治療機器が完成し医師主導知見に進んでおり、障害を招く疾病等についての病因・病態の解明、予防、診断、治療法、リハビリテーション法等の先進的・実践的な取組が行なわれていると評価できる。</p> <p>【老化メカニズムの解明・制御プロジェクト】</p> <p>・老化メカニズムの解明・制御を目指す研究からヒトの老化制御への応用に繋がる研究開発を包括的に推進するための「研究開発拠点」と「研究推進・支援拠点」を採択した。研究開始後、「研究推進・支援拠点」では、早急に老化研究の技術・解析支援体制を整え、7 8 件の解析を実施し、「研究開発拠点」の研究を推進した。</p> <p>・PSP0 を中心としたマネジメントを行い、適切に PDCA サイクルをまわした。PSP0 会議や拠点構想会議を開催し、戦略的な事</p>		
	応募数・採択数	応募数 7 件、採択 2 課題								

			<p>ピー性皮膚炎患者由来検体による微生物叢解析、オミクス解析を複合的に推進した。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>免疫アレルギー疾患実用化研究事業では①カビによる肺組織線維化メカニズムについて、新規病態を解明、②アスピリン喘息に対する無作為化二重盲検プラセボ対照クロスオーバー試験により、ドラッグリポジショニングにつながる知見を得た。③アレルギー疾患の新規予防法や治療薬の開発シーズとなる高機能性脂質を同定した。</li> <li>【画期的シーズの育成に向けた革新的先端研究開発の推進】：COPD合併喘息に対する、新たな治療戦略に基づく吸入剤の開発を促進した。食物アレルギーに対する独創的コンセプトに基づく新規経口ワクチン開発を促進した。新たな治療標的を対象とした自己免疫疾患治療薬シーズの開発を推進した。</li> <li>【生物資源等の戦略的・体系的な整備と研究開発等の国際展開の推進】：アトピー性皮膚炎、及び、リウマチ性疾患について、臨床情報と組織検体の標準化された収集方法及び、組織学、トランスクリプトーム・エピゲノム等オミクス解析を統合した解析パイプラインを構築するとともに、国際標準化を視野に入れた、mRNAの発現ダイナミクスに基づく新たなmRNA-seqデータベースシステムを構築した。</li> <li>免疫アレルギー疾患実用化研究事業では、2018年度は、採択課題（計10課題）に関して、PS、POにもサイトビジット／班会議／市民公開講座に可能な限り参加を頂き、直接研究者と意見交換を実施した。</li> <li>免疫アレルギー疾患実用化研究事業（移植医療技術開発研究分野。令和元年度からは移植医療技術開発研究事業）において、造血幹細胞移植後の生命予後に大きくかわるGVHDについて、便微生物移植を用いた移植後消化管GVHDに対する画期的な治療法に関する技術開発を目指す研究開発を推進した。また、臓器移植分野において、抗体拒絶反応の診療ガイドラインに資するエビデンス収集のための実態調査を行い、抗体関連拒絶反応に関連するB細胞の抑制につながる薬剤開発に向けての臨床研究を推進した。</li> </ul> <p>■慢性の痛みを呈する疾患に関する研究</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>慢性の痛み解明研究事業では、採択課題に関して、PS、POによるヒアリング・サイトビジット・班会議・市民公開講座への参画を通じ、直接研究者と意見交換を実施した。</li> <li>痛みは主観的な感覚であるため、標準的な評価法や診断法、治療法が確立されておらず、診療体制も十分に整っていない現状があるが、難治性の慢性疼痛に悩む国民は多く、早急な痛み対策が求</li> </ul>	<p>業運営を行った。革新的先端研究開発支援事業「全ライフコースを対象とした個体の機能低下機構の解明」領域と合同リトリートや合同シンポジウムを開催し、事業外との有機的な連携を促進するとともに、両事業の進捗や成果について、広く企業や一般の方へ周知し、社会への還元を図った。</p> <p>＜今後の課題＞</p> <p>日本の老化関連研究機関との連携促進のための意見交換等を行い、次期プロジェクトのあり方や拠点構想について今後さらに検討を進める必要がある。</p> <p>【エイズ及び肝炎対策に資する研究】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>平成26年度策定の健康・医療戦略及び医療分野研究開発推進計画及びPSP0体制により、適正、効果的かつ効率的な事業運営・管理を実施し、エイズ及び肝炎対策資する研究では、基礎研究から出口に向けた研究までを一貫して支援した。その結果、エイズ対策に資する研究では、ウイルス増殖過程の解析を基に新規抗ウイルスターゲットが同定された。HIVワクチンの安全性・免疫原性の確認や新規抗HIV薬候補化合物の企業導出を</li> </ul>		
--	--	--	---	---	--	--

			<p>められている。本事業では、病態の解明等の基礎的な研究を進め、評価法等の開発につなげる研究を実施し、慢性の痛み悩む患者のQOL向上に繋がる開発研究を推進した。</p> <ul style="list-style-type: none"><li>・具体的には、慢性疼痛の新たな治療法に繋がる脳関門通過型核酸医薬の開発や、臨床の現場における精神神経免疫学的側面と慢性の痛みの病態を結びつけ、心理社会的ストレスの影響を解明する開発研究等、慢性の痛みの病態解明・治療法の開発に向けた取組を推進した。</li></ul> <p>■身体機能障害の代替・回復やリハビリテーションに資する新しい開発研究</p> <ul style="list-style-type: none"><li>・身体・知的等障害、神経・筋疾患、感覚器障害の分野において、障害全般に関するリハビリテーション等の適切な支援を提供するための研究開発、障害を招く疾病等についての病因・病態の解明、予防、診断、治療法、リハビリテーション法等の先進的・実践的な研究に取り組むと同時に、障害児・者及びその家族の生活支援、社会参加等を目指した研究を推進した。</li><li>・これまでの主な成果は以下の通りである。</li><li>➤ 進行したALS患者等を含む障害者のコミュニケーション支援機器の実用化臨床研究を終了し、製品モデルとして完成した。</li><li>➤ 末梢前庭障害に伴うめまい・平衡障害に対する新規治療機器が完成し、医療機器開発推進研究事業に移行して、2019年度から薬機法承認を目指す医師主導治験を開始した。</li><li>➤ 障害者対策総合研究開発事業では、ブレイン・マシン・インターフェイス(BMI)を用いた生活環境制御・コミュニケーション支援機器(B-assist)を開発・実証評価研究を実施し、移動支援のためのシステム及び機器を実現。</li></ul> <p>■老化メカニズムの解明・制御プロジェクト</p> <ul style="list-style-type: none"><li>・平成29年度にAMEDの新規事業として、老化遅延による健康寿命の延長を目的とし、老化メカニズムの解明・制御を目指す研究からヒトの老化制御への応用に繋がる研究開発を包括的に推進し、日本の老化研究の核となる拠点を形成するため、「老化メカニズムの解明・制御プロジェクト」を立ち上げ、「研究開発拠点」と「研究推進・支援拠点」の2テーマについて、公募した。</li><li>・公募の結果、「研究開発拠点」を2課題、「研究推進・支援拠点」を1課題が採択され、平成29年10月から研究を開始した。</li></ul> <p>【公募】</p> <table><tr><td>H29</td><td>公募テーマ</td><td>①研究開発拠点 老化に関わる学際的な研究を集結し、老化メカニズムの解明・制御を目指す研究から</td></tr></table>	H29	公募テーマ	①研究開発拠点 老化に関わる学際的な研究を集結し、老化メカニズムの解明・制御を目指す研究から	<p>図っているように、HIV 感染症の予防、治療に期待ができる顕著な成果をあげた。HBV ワクチン開発に関しても、より有効なワクチン開発に繋がる成果をえている。また、強力な抗HBV 薬候補化合物を見だし企業導出を図っており、新規作用機序を有する抗 HBV 化合物については企業に導出した。DAA 治療が普及する中、HCV については薬剤の適正使用、持続感染に C 型肝炎悪化のメカニズムや病態の解明が進んだ。</p> <p>＜今後の課題＞</p> <ul style="list-style-type: none"><li>・エイズ対策に資する研究においては、研究開発費が年々削減されているので、ウイルス自身の研究を推進しつつも、HIV 感染の予防及び根治療法の研究開発や HIV 感染症治療中に発生する病態の解明など世の中からのニーズに合わせた課題設定が重要となる。また、他分野からの研究者の参入促進を含めた HIV 研究者の育成に注力する必要がある。</li><li>・肝炎対策に資する研究においては、特に B 型肝炎の根治を目指した抗ウイルス薬及び治療法に関する基盤研究から出口に向けた研究まで引き続き一貫して、推進する必要がある。肝硬変に関しては、線</li></ul>	
H29	公募テーマ	①研究開発拠点 老化に関わる学際的な研究を集結し、老化メカニズムの解明・制御を目指す研究から						

		ヒトの老化制御への応用に繋がる研究開発を実施
応 募 数・採 択数		応募数件 17件、採択数 2件
公募テ ーマ		②研究推進・支援拠点 本事業が機動的かつ円滑に運営されるため、拠点間の連携体制の構築や、老化研究の技術支援や研究支援等の共通基盤を提供し研究開発拠点の活動を支援
応 募 数・採 択数		応募数件 2件、採択数 1件

【事業運営に関する会議】

会議名	H29. 10～	H30	R01
研究推進会議	1	0	1
PSP0 会議	1	3	0
拠点構想会議	0	4	0
キックオフ・リトリート	2	1	6
サイトビジット	0	3	3
他事業との合同リトリート・合同シンポジウム	0	2	0

- ・平成29年度は、研究開始に伴い、PSP0 会議を開催し、拠点内外の連携や「研究推進・支援拠点」の技術解析支援の推進についての議論等を行い、事業運営方針を検討・確認するとともに、研究推進会議を開催し、事業の方向性や拠点内外の連携等について協議し、外部有識者を含めて、日本の老化研究の推進戦略について議論を行った。また、キックオフ会議を開催し、「研究開発拠点」との意見交換、情報共有、技術解析支援のニーズを踏まえ、「研究推進・支援拠点」の技術解析支援の規則の設置、申請方法や審査フロー等の支援体制を整え、平成29年11月から支援を開始した。その結果、平成29年度は、7種類の解析支援を30件実施し、「研究開発拠点」の研究を推進した。
- ・平成30年度は、サイトビジット（3回）を実施し、各拠点の研究進捗状況や解析支援状況を把握し、助言・修正等を行う等、PDCA サイクルを活用した PSP0 のマネジメントを実施し、研究開発もしくは研究推進・支援を着実に推進した。さらに研究開発の加速

維化を改善させる根本的な治療はなく、病態改善につながる新たな治療法の開発が必要である。また、DAA 治療が普及する HCV についても薬剤の適正使用、治療不成功例に対する対策、SVR 後の病態の解明等、患者の QOL 向上に資する成果が必要である。さらに、肝炎研究の展開を図るため、肝臓学研究者と他分野の研究者の協力体制の推進、若手研究者の育成に繋がる課題設定を引き続き行う必要がある。

【ICT・人工知能（AI）基盤構築に関する研究】

- ・異なる6学会をとりまとめ、学会主導の研究を推進し、更に学会共通課題の解決、各学会の DB 間の情報連携及びデータ集積システムの構築に際して、成果の最大化を図る取組を行ったことで、各学会の DB 間の情報連携が可能となるような仕様が定まったことについて評価できる。更に、集積されたデータを効率的・有効的に活用できるよう次世代基盤構築に関わる研究や AI 開発のための基盤整備に関する研究開発を行ったことについても評価できる。
- ・PHR 利活用モデルの構築や AI を活用した保健指導システムの研究開発、IoT を活用した大規模長期介入



				<p>のため、評価の高い課題について、研究費の追加配賦を行った。</p> <p>また、PSP0 会議（3 回）や拠点構想会議（4 回）を開催し、戦略的な事業運営や支援拠点の体制強化、また事業内外の有機的な連携促進、今後の事業や老化関連研究の方向性等について、議論・討議を行った。前年度に引き続き、リトリートを開催し、各拠点の進捗報告や海外の動向等の情報共有、意見交換等を行い、拠点間連携を深め、事業全体の研究促進を図った。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>平成30年度は、「研究推進・支援拠点」において、平成29年度に加齢マウスの供給を含め、8種類の解析支援を48件実施し、研究開発拠点の研究を促進に貢献した。「研究開発拠点」においては、「研究推進・支援拠点」の解析支援や拠点内連携、拠点間連携等による専門分野横断的な共同研究等を開始し、新たな老化メカニズムの解明や制御機構の解明について研究が促進され、その研究成果が着実に出てきた。特筆すべき研究成果として、肝臓傷害時に脳からの自律神経による信号が緊急的な肝臓再生を促進する仕組みの解明（個体・臓器老化研究拠点・東北大学）や血管の防御機構の解明（個体・臓器老化研究拠点・大阪大学）、またオートファジー制御による寿命延長機構の解明（老化機構・制御研究拠点・大阪大学）等、著名な論文を発表し、新たな老化メカニズムの解明・制御機構を見出し、健康寿命延伸に向けた応用展開が期待される成果が得られた。その他、拠点リトリートを開催し、情報交換や若手研究者による討論を行うなど、拠点内連携や研究開発の促進を図った。</li> <li>平成30年度 第2回の調整費により、研究推進・支援拠点における寿命解析の死因解析データを高精度化するため、給電式テレメーターシステムを非接触型電波式充電装置に改良し、長期体内埋込型で自動測定可能なシステムの研究開発を実施した。</li> <li>その他、他事業との連携として、革新的先端研究開発支援事業「全ライフコースを対象とした個体の機能低下機構の解明」領域と合同リトリート（平成30年9月5～6日）を開催し、各事業の研究について情報を共有し、意見交換等を行い、老化関連研究の連携や共同研究の促進を図った。令和元年には、24ヵ月齢の加齢マウス8件（約170匹）の供給支援を開始した。さらに、合同シンポジウム（令和元年3月5日）を開催し、両事業の進捗や成果について、広く企業や一般の方へ周知し、社会への還元を図った</li> <li>その他、国内の老化関連研究機関との連携を目的として、長寿医療研究センターや東京都健康長寿医療センター等と意見交換会議を開催した。理化学研究所とは科学技術ハブの活用や共同研究の推進、クロスアポイントメントによる人材の交流等について、意見交換を行った。</li> </ul>	<p>研究を推進、標準的医療情報収集システム開発・利活用研究に着手したことは評価できる。</p> <p>【統合医療に関する研究】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>より質の高いエビデンスを創出するために、臨床研究における組込れ目標累積例数の進捗管理を強化したこと、事前評価に際して生物統計家や統合医療の専門家の関与を強めたこと、PS・P0のサイトビジット等を継続して実施したことは評価できる。</li> <li>プロトコール作成課題を経て、平成30年度に採択された課題においては、プロトコール論文が掲載されたことは、評価できる。</li> <li>平成29、30年度に採択されたプロトコール作成課題が令和元年度臨床研究の実施課題に採択されたことは評価出来る。</li> </ul> <p>【ACT-M、A-STEP】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>薬事承認が得られた課題、製造販売承認申請に至った課題がある。また、合計24課題で臨床試験や治験に至った。</li> </ul> <p>【リバーストランスレーショナルリサーチ等による循環型研究開発】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>研究・開発を推進できたことは評価できる。</li> </ul>		
--	--	--	--	---	---	--	--

			<p>■エイズ対策に資する研究</p> <p>感染症実用化事業（エイズ対策実用化研究事業）では以下の成果を達成した。</p> <ul style="list-style-type: none"><li>・多剤耐性 HIV 株にも奏功し、中枢移行性がよく HIV 感染者の中枢障害の治療に期待がもてる HIV プロテアーゼ阻害剤 GRL142/KU-241 を合成した。GRL142/KU-241 の薬効・安全性をサルを用いて確認し、企業導出を図っている。さらに、バックアップとして薬物代謝酵素の阻害が軽微であり薬物相互作用を回避できる可能性のある GRL142/KU-241 の誘導体も合成した。</li><li>・HIV Subtype B の約 70%を中和する単クローン抗体 1C10 をカイコで大量調製し、カニクイザルで安全性を確認した。また、SHIV を感染させたカニクイザルを用いて、1C10 のウイルス増殖抑制効果を確認し、臨床試験に向けて大きく前進した。</li><li>・センダイウイルスベクターを用いた HIV ワクチンの国際共同臨床試験第 I 相で、ワクチンの安全性・免疫原性を示す最終結果が論文発表された。(J. Nyombayire et al., J. Infect. Dis. 2017, 215, 95.)</li><li>・HIV Env 三量体改変抗原発現センダイウイルスベクター及び多様な Env 三量体改変抗原搭載非感染ウイルス粒子を作製した。これらを併用してサルに接種した結果、交差性の高い抗体を誘導し、HIV 感染防御ワクチンの開発に繋がる成果を得た。</li><li>・全国を網羅する調査ネットワークで得られた HIV 薬剤耐性変異データ、HIV 遺伝子配列および臨床情報と HIV 感染症治療薬の血中濃度を統合して解析することにより、海外からの流入も含めた本邦の HIV 感染動向や、疫学上、臨床上の課題が明らかになりつつある。</li><li>・HIV が体内で効率よく感染を拡げるための「細胞—細胞間感染」の分子メカニズムを解明し、これに関わる宿主蛋白質を発見した。「細胞—細胞間感染」は、細胞どうしが密に存在するリンパ節などの組織でみられ、抗ウイルス薬を投与しても相対的な薬剤濃度が低下し薬の効果を弱める一因となっており、HIV の潜伏化や慢性感染の維持にも関与している。したがって、「細胞—細胞間感染」の分子メカニズムの解明は、HIV の体内での拡がりや潜伏化機構の解明につながるだけでなく、新たな治療法開発への応用に寄与するものと期待された。(K. Miyakawa et al., Nature Commun. 2017, 8, 14259)</li><li>・CRISPR/Cas9 とアデノ随伴ウイルスベクターを用いて、生後の血友病 B マウス（第 IX 因子欠損）の異常遺伝子の修復に成功した。本成果を CiCLE 事業に橋渡しし、血友病 B に対する遺伝子治療用製品の研究開発に繋げた。(T. Ohmori et al., Sci Rep. 2017, 7, 4159.)</li></ul>			
--	--	--	--	--	--	--

			<div><ul style="list-style-type: none"><li>・ in vitro で LRA と既存の抗 HIV 薬の併用薬剤効果を評価できる系の樹立に成功した。本評価系は既存の抗 HIV 薬に LRA を併用することでウイルスの産生が抑制されるだけでなく、HIV 潜伏感染細胞が効率的に除去されている過程を評価することができ、本評価系を用いて、複数の LRA 活性を有する化合物の同定にも成功した。(S. Hattori et al., Front. Microbiol. 2018 Sep 19;9:2022,; K. Matsuda et al., J Biol Chem. 2019 Jan 4;294(1):116-129)</li><li>・リン酸化修飾に関わる 400 種類以上の宿主タンパク質群のうち、Vpx と相互作用するものを探索し、PIM キナーゼと呼ばれる宿主タンパク質が Vpx とよく結合し、特異的にリン酸化することを見いだした。さらに、質量分析計を用いた解析で、Vpx の 13 番目のアミノ酸であるセリンが PIM キナーゼによりリン酸化されることが明らかにした。また、宿主 PIM キナーゼが Vpx の SAMHD1 に対する働きを制御するウイルス調節因子であることを明らかにした。また、PIM キナーゼを阻害することにより、HIV-2 の複製を効果的に阻止できることを初めて示した。(K. Miyakawa et al., Nature Commun . 2019 Apr 23;10(1):1844.)</li><li>・HIV-1 RNA を標的とした新たな宿主抑制因子として N4BP1 を同定した。また、MALT1 による N4BP1 の分解が、HIV-1 潜伏感染細胞の再活性化に寄与することを明らかにした。N4BP1 の役割を検討することで、HIV-1 感染やその潜伏感染、再活性化機構のさらなる病態解明に発展することが期待される。また、MALT1 や N4BP1 の機能を調節することで、例えば HIV-1 潜伏感染細胞を再活性化させ抗ウイルス治療に対し効果を示すように制御するショック &amp; キル療法など、新たなエイズの治療につながることを期待される。(D.Yamasoba et al., Nat Microbiol. 2019 Apr 1532-1544.)</li><li>・STING リガンド 3' 3' -cGMPA は type I IFN の産生を強く引き起こすことによって、ナイーブ T 細胞からエフェクター機能の強い HIV-1 特異的 CD8 陽性 T 細胞を効率的に誘導できることを明らかにした。(K. Nozomi et al., EBioMedicine 2019 42:109-119)</li></ul></div> <div>■肝炎対策に資する研究</div> <div>感染症実用化事業（肝炎等克服実用化研究事業）では以下の成果を達成した。</div> <div><ul style="list-style-type: none"><li>・試験管内で、薬剤耐性 B 型肝炎ウイルスに著効示し、薬剤耐性 B 型肝炎ウイルス感染キメラマウスにおいても強力な抗ウイルス効果を示す化合物を合成した。本化合物は、現在臨床で用いられているエンテカビルよりも安全性が高く、さらに肝細胞内での安定性が高いことから 1 週間に 1 度の服薬レジメンが可能と考えられた。これらの結果を基に企業導出を図っている。</li></ul></div>			
--	--	--	---	--	--	--

			<ul style="list-style-type: none"><li>・ラット及びマウスの成熟肝細胞から、肝臓を再構築する肝前駆細胞へのリプログラミングおよび安定培養に成功した。培養に成功したラット由来の肝前駆細胞を、肝障害をもつマウスの肝臓に移植すると高い再生能力を示し、75-90%という極めて高い効率でホスト肝臓を再構築した。このような部分的リプログラミングというアプローチは、再生医療分野における新たな方向性を示した。(T. Katsuda et al., Cell Stem Cell 2016, 20, 270.)</li><li>・様々なC型肝炎治療薬を用いたC型肝炎ウイルスの感染培養実験を実施し、得られた実験データをもとに数理モデルと呼ばれる数学的な方程式で解析し、コンピュータシミュレーションを援用する事で網羅的に薬剤組み合わせの特徴を解析し、現在治療に用いられている複数の薬剤の組み合わせによるウイルス抑制効果の強さを判定する手法を開発した。(Y. Koizumi et al., PNAS 2017, 114, 1922)</li><li>・抗ウイルス療法によりHCVを排除した943名の患者（肝発癌例 vs. 非発癌例）の血液検体・臨床情報を全国の共同研究施設より収集し、ゲノムワイド関連解析法を用いて全遺伝子にわたって約60万カ所の塩基配列の違いを解析した。その結果、4番染色体に位置し、TLL1遺伝子内に存在する一塩基多型（SNP: single nucleotide polymorphism）が肝発癌に強く関連することを見出した。(K. Matsuura et al., Gastroenterology 2017, 152, 1383.)</li><li>・改変したエイズウイルスの逆転写酵素にB型肝炎治療薬エンテカビルを結合させ、その立体構造を解析し、エンテカビルが逆転写酵素に結合する仕組みと薬剤耐性が生まれる仕組みを解明した。(Y. Yasutake et al., Sci Rep. 2018, 8, 1.)</li><li>・特定のHLA-DR-DQ分子によるHBs抗原の認識（ワクチン低反応）およびBTNL2分子によるT細胞やB細胞の活性制御（ワクチン高反応）がHBVワクチンの効果に重要な役割を果たすことが明らかとなった。(N. Nishida et al., Hepatology, 2018, 68, 848.)</li><li>・全国65の小児施設に登録された、1986年から2015年に出生し研究条件を満たした348例を、出生年ごとに3群に分け、診断時年齢、最終受診時診断、治療、感染経路、ゲノタイプなどを比較検討し、肝生検が実施されていた147例に関しては、肝組織像を詳細に検討した。その結果、近年の傾向は、より低年齢で診断され、母子感染が99%以上になり、ゲノタイプは2型が最多になっていた。また、欧米では1～2%に認められる肝硬変は国内では見られず、大部分の症例は肝組織で線維化がない、または軽度で、肝がんはなかった。(T. Mizuochi et al., J. Gastroenterology, 2018, 53, 419.)</li><li>・C型肝炎ウイルスが持続感染し、病状が悪化するにつれて腸内フ</li></ul>			
--	--	--	--	--	--	--

			<p>ローラにレンサ球菌属のストレプトコッカス・サリバリウスなどが異常に増え、腸管で尿素を分解してアンモニアを生産することを明らかにした。このことから、アンモニア生産菌を増殖させないことが肝硬変などで見られる高アンモニア血症の予防や治療につながる可能性を示した。(T. Inoue et al., Clinical Infectious Diseases, 2018, 67, 869.)</p> <ul style="list-style-type: none"><li>• B 型肝炎ウイルス (HBV) の中でもアラスカで多く認められる遺伝子型のゲノタイプ F1b に特異的なウイルス変異 (A2051C) が HBV 感染粒子の産生を促し、若年肝がんの発症に関連していることを明らかにした。これらの結果は、B 型肝炎の発癌メカニズムや病態の解明、新薬の開発に道を開く可能性を示した。(S. Hayashi et al., Hepatology, 2018, 69, 19.)</li><li>• B 型肝炎ウイルスの複製に重要なウイルスタンパク HBx と宿主タンパク DDB1 との結合を阻害する薬剤の効率的なスクリーニング系を構築し、スクリーニングの結果ニタゾキサニドを同定した。ニタゾキサニドは、初代ヒト肝細胞を用いた B 型肝炎ウイルス感染系において、ウイルス RNA、ウイルスタンパク、ウイルス DNA、cccDNA 量を低下させたことから、新規の B 型肝炎治療薬となる可能性が示された。(K. Sekiba et al., Cell Mol Gastroenterol Hepatol. 2019, 7, 297.)</li><li>• 間葉系幹細胞はマクロファージを M1 (炎症性) から M2 (抗炎症性) へと表現型を変化させるのに関わり、肝線維化改善を促進させていることを見いだした。また、マウス肝臓をイメージング出来る技術を用いて、投与マクロファージが壊死肝細胞を貪食するライブ画像をとらえることに成功した。この成果は、間葉系幹細胞を用いた再生治療開発の発展に資すると考えられる。(Y. Watanabe et al., Stem Cells Transl Med. 2019, 8, 271.)</li><li>• マウス体内で網羅的にがん遺伝子を探索出来る新技術を用いてスクリーニングを行い、脂肪性肝疾患からの肝がん発症に Hippo (ヒッポ) 経路の構成因子 Sav1 (サブワン) が重要な役割を果たすことを見いだした。このように、Hippo 経路は、肝がん治療の新規標的となる可能性を示した。(T. Kodama et al., Proc Natl Acad Sci U S A. 2018, 115, E10417.)</li><li>• B 型肝炎ウイルス (HBV) の複製過程に形成される cccDNA の前駆体 DNA に特徴的な“フラップ構造”に着目し、フラップ構造を切断するタンパク質 FEN1 の作用について、HBV 複製モデル実験や試験管内で cccDNA 形成を再現する新たな研究手法を用いて検討した。その結果、いずれの手法においても FEN1 の機能低下に伴い HBV cccDNA 量の減少が認められた。前駆体 DNA に対する FEN1 の作用機序を解析することにより、cccDNA 形成を抑制する新規の抗 HBV 薬開発につながると考えられる。(K. Kitamura et al., PLoS</li></ul>			
--	--	--	--	--	--	--

			<p>Pathog. 2018, 14, e1007124.)</p> <ul style="list-style-type: none"><li>・B型肝炎ウイルス (HBV) のカプシドは、ゲノム複製にも関与するHBV コアタンパク質 (HBc) が会合して二量体となり、さらにこの二量体が自己集合して形成される。スクリーニングにより、HBc の二量体形成とゲノムの複製の双方を阻害するヒット化合物を見いだし、そのうちの7化合物を国内大手企業に導出した。導出先にて、構造活性相関研究や構造化学的検討、in vitro、in vivoでの薬効評価等が実施される。</li><li>・「C型肝炎ウイルスに起因する肝硬変に対する抗線維化治療薬の開発に関する研究」を産学連携医療イノベーション創出推進プログラムに橋渡しし、Phase Iを完結させた。その成果を基に企業導出、CiCLE事業での採択へと繋げた。</li><li>・合成Notch受容体の細胞内・外のドメインのカスタマイズにより、B型肝炎ウイルス (HBV) の表面抗原を検知して特異的に免疫応答を活性化できる、人工免疫細胞の樹立に成功した。</li><li>・HBs抗原及びHBV-DNA抑制作用をもつヒット化合物から、最適化合成を実施し、細胞毒性の懸念がなく、in vitro 及び in vivo (キメラマウス) で抗HBV活性が向上した化合物を取得することに成功した。</li><li>・インターフェロン様活性を持つ低分子化合物 CDM-3008 (R04948191) が、B型肝炎ウイルス (HBV) のcccDNA (完全閉塞本鎖) 抑制効果などにより抗B型肝炎ウイルス活性を示すことを明らかにしました。今後、経口投与可能な新規インターフェロン様治療薬の開発が期待される。</li><li>・B型肝炎治療薬である核酸アナログ製剤のうち、アデフォビル・テノフォビルには従来から知られているウイルス増殖抑制効果に加え、宿主免疫賦活効果、抗腫瘍効果があることを明らかにした。</li><li>・HCV感染は、Rubicon発現を亢進してオートファジーを抑制することを明らかにした。また、このオートファジー抑制を介したIFN発現の活性化がHCV複製抑制に寄与しており、オートファジー阻害剤投与がHCV排除を促進する可能性が示唆された。</li></ul> <p>■統合医療に関する研究</p> <p>【平成27年度】</p> <ul style="list-style-type: none"><li>・平成27年度は、厚生労働省より移管された課題 (計10課題) に関して、PS、POによる進捗管理を実施した。</li><li>・その後、2次公募による事前評価を行い、3課題を追加採択し、計13課題に関して同様にPS、POによる進捗管理を実施した。</li></ul> <p>【平成28年度】</p> <ul style="list-style-type: none"><li>・平成28年度は、採択課題 (計13課題) に関して、班会議に可能</li></ul>			
--	--	--	--	--	--	--

			<p>な限り参加を頂き、直接研究者と意見交換を実施した。</p> <ul style="list-style-type: none"><li>・評価委員より、統合医療の専門家を科学技術調査員として委嘱し、評価時に科学技術調査員の査読コメントを活用出来る評価体制の充実化の希望が出た為、委嘱を実施した。</li><li>・評価委員からの、統合医療領域の臨床研究について提案内容をより充実するため、プロトコール作成からの人材育成が必要との意見より、生物統計家を科学技術調査員として委嘱し、プロトコール作成課題を平成 29 年度の新規公募課題とすることとした。</li></ul> <p>【平成 29 年度】</p> <ul style="list-style-type: none"><li>・平成 29 年度は、採択課題（計 15 課題）に関して、PS、PO にもサイトビジット／班会議／市民公開講座に可能な限り参加を頂き、直接研究者と意見交換を実施した。</li><li>・平成 29 年度より新たに始めた機能性食品、鍼灸、アロマに関するプロトコールを作成する課題（3 課題）では、科学技術調査員のサポートを受けながら、毎月の進捗管理および進捗会議（計 3 回）を実施し、倫理審査委員会への申請資料一式の作成を行った。</li><li>・臨床研究に関する採択課題（9 課題）を対象とし、より進捗管理を強化するため、科学技術調査員に臨床試験のプロトコールについて評価項目やサンプルサイズ等のコメントを頂き、より質の高い臨床研究実施に向けたアドバイスを PSP0 と共有した上で、研究者へフィードバックした。</li><li>・平成 30 年度公募に際しては、更なる科学的根拠収集のため、評価委員および科学技術調査員の見直しを行い、追加での生物統計家（2 名）および統合医療の専門家（3 名）を科学技術調査員として委嘱し、評価に活用した。</li></ul> <p>【平成 30 年度】</p> <ul style="list-style-type: none"><li>・平成 30 年度は、採択課題（計 15 課題）に関して、PS、PO にもサイトビジット／班会議／公開講演会に可能な限り参加を頂き、直接研究者と意見交換を実施した。</li><li>・「統合医療」に関するプロトコール作成研究（4 課題）では、科学技術調査員のサポートを受けながら、毎月の進捗管理および進捗会議（計 3 回）を実施し、倫理審査委員会への申請資料一式の作成を行った。</li><li>・「統合医療」に関するプロトコール作成研究のうち、痛みをテーマとする課題では、慢性の痛み解明研究事業の PSP0 に班会議に参画して頂き、より実臨床に即したプロトコールの作成が出来た。</li><li>・臨床研究に関する採択課題（8 課題）を対象とし、研究進展についての進捗管理を強化するため、組入れ目標累積例数を毎月報告頂き、より質の高い臨床研究実施に向けたアドバイスを PSP0 と共有した上で、研究者へフィードバックを行った。</li></ul>			
--	--	--	--	--	--	--

			<ul style="list-style-type: none"><li>・平成 31 年度公募に際しては、更なる科学的根拠収集のため、科学技術調査員の見直しを行い、統合医療の専門家（3 名）とヘルスコミュニケーションの専門家（1 名）を科学技術調査員として委嘱し、評価に活用した。</li></ul> <p>■ICT・人工知能（AI）基盤構築に関する研究</p> <p>【臨床研究等 ICT 基盤構築・人工知能実装研究事業】</p> <ul style="list-style-type: none"><li>・平成 28 年度より開始した学会主導の画像等データベース研究は 6 学会、画像共通プラットフォーム研究を進める国立情報学研究所を加えた 7 研究体制で進めている。6 学会に対しては、研究開始時点より密な相互連携を義務づけ、班会議等で情報共有するとともに、国立情報学研究所が主体となり画像関連 6 学会を取りまとめ、学会間の認識の共通化を図った。また、AMED としても学会共通の課題解決を目的とした会議を複数回開催し知識を共有するとともに、知財や個人情報に関する専門家の講義を通じて研究者の理解向上を図る等、コンサルティングを交えつつ研究管理を行った。さらに、6 学会の学術集会、日本医学会及び医療情報学会にて AMED 理事長又は当事業 PS/PO が研究内容を紹介する機会を設けるとともに、会期中に画像データ基盤構築に関わるセッションを開催するなど、個々の学会員へ学会本体の取組が周知されている。</li></ul> <p>【パーソナル・ヘルス・レコード（PHR）利活用研究事業】</p> <ul style="list-style-type: none"><li>・本事業は平成 28 年度より開始し平成 30 年度に終了した。研究期間を通じてした 4 つのライフステージ（妊娠・出産・子育て、疾病・介護予防、生活習慣病、医療・介護連携）ごとに PHR 利活用モデルを構築し、今後の社会実装に向けた実証研究を実施した。また、異なる PHR システム間で横断的にデータを管理・活用できる PHR プラットフォームの研究を行った。</li></ul> <p>【AI を活用した保健指導システム研究推進事業】</p> <ul style="list-style-type: none"><li>・本事業は平成 29 年度より開始し今年度終了、成果報告会を行った。地域における健診・レセプトデータ及びエビデンスデータをもとに、適切な保健指導施策の提案を行うシステムや適切な保健指導を立案できるシステム構築とその有効性の検証を行い、機能の改善と拡充を図った。</li></ul> <p>【IoT 等活用生活習慣病行動変容研究事業】</p> <ul style="list-style-type: none"><li>・日本糖尿病学会主導で IoT を活用した世界的にも大規模（2,000 名程度）かつ長期間の介入研究を推進し、研究を終了した。また、</li></ul>			
--	--	--	--	--	--	--



			<p>平成 30 年度に採択した研究 4 課題とともに成果報告会を行った。これら研究を通じて、IoT デバイスを用いて取得した個人の健康情報を基に個人の行動変容を促進し、重症化予防、介護予防、健康経営等に係る効果の科学的なエビデンスの構築がなされた。令和元年度にも日常生活における健康データの医療分野での活用手法の開発を目的に 6 課題を採択し、翌年度の準備が適切に行われた 4 課題について実証研究を進めることとした。</p> <p>【標準的医療情報収集システム開発・利活用研究事業】</p> <ul style="list-style-type: none"><li>・電子カルテベンダー・医療機関を超えて広く利活用が可能なクリニカルパス機能の開発と、その機能が医療安全の向上や診療行為の効率化へ確実に繋がることを示すことを目標とし、研究を推進した。</li></ul> <p>■産学連携医療イノベーション創出プログラム（ACT-M）</p> <ul style="list-style-type: none"><li>・AMED・産学連携医療イノベーション創出プログラムでは基本スキーム（ACT-M）が平成 27 年度から、セットアップスキーム（ACT-MS）は平成 28 年度から、毎年度公募を一回ずつ行い、これまで計 83 課題（ACT-M 41 課題、ACT-MS 42 課題）を採択し、産学連携による医療イノベーション創出に向けて研究開発を推進。研究開発の進捗状況を把握し助言を行うため、PO を中心としたサイトビジット等を実施している。</li><li>・平成 27 年度に AMED・ACT-M にて採択された「情動系を調節するオピオイド δ 受容体作動薬の開発」（代表機関：日本ケミファ（株））の研究開発課題に関して、その継続研究が AMED「医療研究開発革新基盤創成事業（CiCLE）：第 2 回公募」にて「オピオイド δ 受容体活性化を機序とする画期的情動調節薬の開発」として採択され、本格的に企業主導の開発ステージに進んだ。他、CiCLE の第 3 回、第 4 回公募においても、ACT-M、ACT-MS の継続研究がそれぞれ採択され、計 3 件の橋渡しが実現した。</li><li>・AMED・ACT-M 平成 28 年度採択課題「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」については、平成 30 年 2 月から 12 月まで医師主導治験を実施し、本課題で開発した材料の安全性が確認された。京都大学と三洋化成工業（株）は、シルクエラスチンの水溶液が 37℃でゲル化するという特徴を利用して、創傷治癒材としての開発研究を行い、難治性皮膚潰瘍の治癒を促進する材料であることを動物実験で確認した。これまで、難治性皮膚潰瘍の治療には、適度な湿潤環境を維持、細菌感染などの増悪因子を助長させない治療が求められ、そのためには日々の処置が欠かせず負担が大きかったが、本課題の実用</li></ul>			
--	--	--	--	--	--	--

			<p>化により、日常の負担軽減が見込まれる。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・他に、ACT-M においては 3 課題が臨床試験に進んでおり、本事業により着実に実用化に向け前進している。</li> </ul> <p>■研究成果最適展開支援プログラム（A-STEP）</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・JST から移管された、AMED・研究成果最適展開支援プログラム（A-STEP）の 88 課題について、産学連携体制による実用化に向けた研究開発を支援。PO や外部評価委員によるサイトビジット、終了課題については事後評価を実施するとともに、リーフレットにて成果の普及に努めた。</li> <li>・（株）ジーシーは、AMED・A-STEP の研究開発成果に基づき、国内では初めて歯科用インプラントの周囲を含む領域でも使用可能な人工骨「ジーシー サイトランス グラニュール」を開発し、薬事承認（平成 28 年 12 月 14 日）され、歯科医師向けに販売している。骨再建術においては、安全面・治療効果の面から自家骨の移植が優先されているが、自家骨移植は侵襲度が高く、負担が大きい。人工骨である他家骨、異種骨は安全面での課題、合成骨は治療効果の面での課題があるとされてきた。九州大学は、骨の無機成分である炭酸アパタイトを焼結行程無しで顆粒状に成形する合成法を確立し、その技術シーズを（株）ジーシーが人工骨として実用化することに成功した。本課題の成果については、日本オープンイノベーション大賞（Japan Open Innovation Prize（JOIP））選考委員特別賞を令和元年 2 月に受賞し、同年 3 月に授賞式が行われた。</li> <li>・他にも、製造販売承認申請が提出された例として、富士ソフト・ティッシュエンジニアリング（株）は、平成 30 年 6 月に、AMED・A-STEP 委託開発「先天性顔面疾患に用いるインプラント型再生軟骨」（富士ソフト（株））の成果をもとに、患者から採取した軟骨を培養して鼻の治療に使う再生医療製品について製造販売承認申請を提出した。</li> <li>・以上の他に、本プログラムではこれまで計 22 課題において、AMED・ASTEP の支援中、もしくは支援後に臨床試験もしくは治験を実施している。</li> </ul> <p>■8K 等高精細映像データ利活用研究事業</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・8K 内視鏡システムの医療上の有用性の検証及び高精細映像データの利活用による医療の質の向上等に関する研究について、平成 29 年度に研究開発課題を 1 件採択し、平成 30 年度末までに試作品を用いて 25 件のヒト臨床試験を実施した。</li> <li>・また、8K 等高精細映像データ利活用研究事業／高精細映像データ</li> </ul>			
--	--	--	--	--	--	--

			<p>の収集・解析を通じて内視鏡診療支援を行う医用人工知能システムの研究について、平成 29 年度に研究開発課題を 1 件採択し、支援課題に関する成果として、平成 30 年度末までに腫瘍性病変検出感度 85%を達成した。</p> <p>・また、8K 等高精細映像データ利活用研究事業／高精細映像データの収集・解析を通じて内視鏡診療支援を行う医用人工知能システムの研究では、人工知能（AI）によりポリープ・癌をリアルタイムで検知し、医師による病変の発見から治療方針提案、さらに再発予測を含む大腸内視鏡検査支援システムを開発。開発した AI をテストしたところ、平成 30 年度は腫瘍性病変の検出感度 85%を達成した。</p> <p>■リバーストランスレーショナルリサーチ等による循環型研究開発</p> <p>・平成 30 年度から「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」のなかで、リバース・トレーショナル・リサーチに係る公募を実施している。（平成 30 年度は 1 課題を採択し、令和元年度は該当者なし。）</p>																																																																																	
			<p>■革新的先端研究開発支援事業（AMED-CREST、PRIME、LEAP）</p> <p>・本事業においては、各年度において公募テーマをそれぞれ設定し、下記の通りに採択を行った。採択にあたっては、いずれも書面評価、ヒアリングを行い、事前評価を行った。</p> <p>【領域・課題】</p> <table><tr><td colspan="2">AMED-CREST・PRIME</td><td>H27</td><td>H28</td><td>H29</td><td>H30</td><td>R01</td></tr><tr><td rowspan="3">新規</td><td>領域数</td><td>2</td><td>1</td><td>1</td><td>1</td><td>1</td></tr><tr><td>応募課題数</td><td>458</td><td>439</td><td>584</td><td>503</td><td>521</td></tr><tr><td>採択課題数</td><td>36</td><td>35</td><td>49</td><td>37</td><td>42</td></tr><tr><td rowspan="2">既存</td><td>領域数</td><td>7</td><td>7</td><td>7</td><td>7</td><td>7</td></tr><tr><td>継続課題数</td><td>84</td><td>112</td><td>121</td><td>153</td><td>167</td></tr></table> <p>LEAP</p> <table><tr><td colspan="2"></td><td>H27</td><td>H28</td><td>H29</td><td>H30</td><td>R01</td></tr><tr><td>新規</td><td>採択課題数</td><td>2</td><td>1</td><td>1</td><td>1</td><td>1</td></tr><tr><td>既存</td><td>継続課題数</td><td>－</td><td>2</td><td>3</td><td>4</td><td>5</td></tr></table> <p>【運営】</p> <table><tr><td>AMED-CREST/PRIME</td><td>H27</td><td>H28</td><td>H29</td><td>H30</td><td>R01</td></tr><tr><td>サイトビジット（領域）</td><td>41</td><td>53</td><td>36</td><td>34</td><td>48</td></tr><tr><td>領域会議・キック</td><td>5</td><td>6</td><td>11</td><td>9</td><td>13</td></tr></table>	AMED-CREST・PRIME		H27	H28	H29	H30	R01	新規	領域数	2	1	1	1	1	応募課題数	458	439	584	503	521	採択課題数	36	35	49	37	42	既存	領域数	7	7	7	7	7	継続課題数	84	112	121	153	167			H27	H28	H29	H30	R01	新規	採択課題数	2	1	1	1	1	既存	継続課題数	－	2	3	4	5	AMED-CREST/PRIME	H27	H28	H29	H30	R01	サイトビジット（領域）	41	53	36	34	48	領域会議・キック	5	6	11	9	13	<p>【革新的先端研究開発支援事業（AMED-CREST、PRIME、LEAP）】</p> <p>・JST CREST の移管課題について運用を開始するとともに、AMED の本事業としての運営方式を設定し、事業運営サイクルを安定化させ、さらに、評価や領域会議等の実施にかかる部分の効率化を図るとともに、研究開発マネジメントを強化した。その結果、Nature や Science 等の掲載などトップクラスの基礎的研究成果を続々と創出し、革新的な医療につながるものが期待されるシーズも多数創出されている。</p> <p>・国際水準での評価の実施を目的とし、AMED-CREST 新</p>		
AMED-CREST・PRIME		H27	H28	H29	H30	R01																																																																														
新規	領域数	2	1	1	1	1																																																																														
	応募課題数	458	439	584	503	521																																																																														
	採択課題数	36	35	49	37	42																																																																														
既存	領域数	7	7	7	7	7																																																																														
	継続課題数	84	112	121	153	167																																																																														
		H27	H28	H29	H30	R01																																																																														
新規	採択課題数	2	1	1	1	1																																																																														
既存	継続課題数	－	2	3	4	5																																																																														
AMED-CREST/PRIME	H27	H28	H29	H30	R01																																																																															
サイトビジット（領域）	41	53	36	34	48																																																																															
領域会議・キック	5	6	11	9	13																																																																															

オフ					
課題評価	6	5	4	5	5
	37	35	27	51	52
領域評価	3	5	2	2	4
シンポジウム	4	1	1	1	5

LEAP	H27	H28	H29	H30	R01
PSP0 会議	1	2	1	0 ※1	0
サイトビジット・PSP0 との面談	0	0	2	2	0
課題主催プロジェクト会議	1	2	3	6	6

※1：機構担当者による持ち回りにより議論を実施。

- ・機構発足に伴い、科学技術振興機構（JST）の戦略的創造研究推進事業 CREST において実施してきた医療分野に資する研究開発として 7 領域 84 課題について移管を受け、JST での実施にかかる膨大な管理データを引き継ぎ、JST 時代からの既存領域の運営を開始した。また、平成 26 年度に JST が実施した規研究開発領域の設定にかかる調査の内容を引継ぎ、平成 27 年度当初に AMED 職員によるインタビュー等の調査を行い、2 つの新規研究開発領域を設定した。
- ・戦略的創造研究推進事業では CREST、さきがけとそれぞれにおいて領域マネジメントを行っていたものを、本事業ではユニットタイプ（AMED-CREST）、ソロタイプ（PRIME）の両者一体型の領域マネジメントとした形での領域の運営方式を設定した。機構発足から平成 28 年度までは事業運営サイクルを安定化させることに注力したが、そもそもの事業規模が大きいこともあり、かなりのエフォートを要した。そこで、平成 29 年度以降は評価や領域会議等の実施にかかる部分の効率化を図るとともに、研究開発マネジメントを強化した。その結果、Nature や Science 等の掲載などトップクラスの基礎的研究成果を続々と創出している。
- ・平成 27 年度から平成 30 年度の各年度において、翌年度の新規研究開発領域の設定に向けた調査を行った。特に、平成 30 年度においては、次期中長期計画の中核的テーマの一つとして検討されている「ヒトのライフコースを意識したアプローチ」については、戦略ワークショップ、連携シンポジウムを開催し、新規研究開発領域の設定に向けた検討を実施するとともに、成育疾患克服等総合研究事業および女性の健康の包括的支援実用化研究事業との連携を詳細に検討し、医療応用を可能とするための長期的視点に立った基礎的研究の戦略について検討した。

領域の選考において、海外レビューアによる書面審査を他事業にさきがけて導入した。また、画期的シーズの創出・育成をより一層進めるため、LEAP の選考方法において、自薦を中心とした他事業の臨床・応用研究者とのマッチングの仕組みを導入した。さらに、次期中長期計画の中核的テーマである「ヒトのライフコース」に関する新規研究開発領域を検討した。選考方法の改革にかかる取組や次期計画を意識した領域の検討により、国際競争性や将来展開の観点がより深まることとなり、有力なポテンシャルを持つ課題の採択に繋がると期待される。

- ・バイオバンクの利用促進や倫理申請の支援を目的として、新たな PO を指名し、さらに、AMED-CREST、PRIME の成果を将来的にヒトへの展開に繋げるため、ヒト検体を用いた疾患絞込み等を支援する制度として、FORCE を新たに開始した。これらの取組により、より優れた研究成果の創出に繋がると期待できる。

【メディカルアーツの創成に関する研究】

- ・研究・開発を推進できたことは評価できる。

			<ul style="list-style-type: none"> <li>・国際水準での評価の実施を目的とし、国際レビューア（外国の研究機関に所属する外国人又は日本人の専門家その他これに準ずる者）の導入準備を平成 29 年度に行った。本件は、AMED 全体への導入に先駆けた試行として、レビューアの探索から依頼までの一連の仕組みを構築し、平成 30 年度の AMED-CREST 新規領域において、提案書の一部を英語化し、海外レビューア 19 名による書面審査を実施した。令和元年度は 101 件の提案に対し、海外レビューア 39 名による書面審査を実施した。本件は、今後の AMED 全体への導入へ繋がる成果・モデルケースとなった。</li> <li>・インキュベートタイプ (LEAP) においては、画期的シーズの創出・育成をより一層進めるため、企業導出に向けた活動促進と他事業との連携を図るべく、平成 29 年度から平成 30 年度にかけて選考方法の改革を検討した。具体的には、これまでの候補課題の条件を AMED-CREST、PRIME の領域総括 (PS) の推薦に加えて自薦も可能とした事前登録制とし、AMED-CREST・PRIME 等の研究者と AMED 他事業の応用以降の研究者とのマッチングフェーズを設定することで、より効果的な成果の導出に向けた研究開発提案を行うための仕組みとした。また、令和元年度の選考より、本システムでの公募を実施している。</li> <li>・平成 30 年度において、AMED-CREST、PRIME の研究開発代表者に対し、ヒト検体サンプルへのニーズやバイオバンク利用についてアンケート調査を行った。その結果、ヒト検体サンプルへのニーズは高いが、バイオバンク利用に関する情報不足や倫理申請の困難さが課題として挙げられたため、バイオバンク利用や倫理申請の支援を目的とした PO を指名した。令和元年度に新規採択を行い、研究を開始した。</li> <li>・AMED-CREST、PRIME から得られた優れた基礎研究成果を他の疾患別事業等に展開することを促進するため、ヒト検体サンプルを用いた対象疾患の絞り込みや分析技術の汎用性検証を行うための新たな取組として、平成 29 年度～平成 30 年度にかけて「ステップタイプ (FORCE)」を設計した。平成 30 年度より提案を募集し、令和元年度に新規採択を行う予定である。</li> </ul> <p>■メディカルアーツに関する取組</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・総合的な取組として、組織内で協同し、メディカルアーツの開発及び普及に関する研究へのファンディング等に係るデータを事業横断的に集積した。具体的には、事業横断的に、メディカルアーツに関連する一部の課題について、担当の部局等の特定、関連する事業、課題管理番号等を集積した。</li> <li>・令和元年度は、令和 2 年度から新規事業として実施するメディカルアーツ研究事業の立ち上げ準備を行った。</li> </ul>			
--	--	--	---	--	--	--

					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			
				応募件数及び 採択件数	911 件 及び 150 件	1,219 件及び 281 件	1,247 件及び 203 件	1,409 件及び 251 件	1,267 件及び 216 件			
				事業に参画し ている研究者 延べ人数	1,439 人	3,938 人	4,051 人	6,155 人	2,552 人			
				PMDA への薬事 戦略相談を行 った研究開発 課題数	3 件	38 件	17 件	19 件	12 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	131 件	228 件	309 件	184 件	275 件			

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			
Ⅱ―(1)―①	(1) 業務運営の効率化に関する事項 ①組織・人員体制の整備		
当該項目の重要度、困難度	－	関連する政策評価・行政事業レビュー	－

2. 主要な経年データ									
	評価対象となる指標	達成目標	基準値等 (前中長期目標期間 最終年度値等)	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	(参考情報) 当該年度までの累積値等、必要な情報
	PD/PS/PO の委嘱件数			182 件	208 件	243 件	293 件	382 件	

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	
	AMED に求められる機能（研究開発のマネジメント（データベースの構築を含む。）、研究不正の防止、臨床研究及び治験データマネジメント、実用化へ向けた支援、研究開発の基盤整備に対する支援、国際戦略の推進、政府出資を活用した産学官共同での医薬品・医療機器の研究開発の促進等）を果たすため、適切な組織・人	AMED に求められる機能（研究開発マネジメント（データベースの構築を含む。）、研究不正の防止、臨床研究及び治験データマネジメント、実用化へ向けた支援、研究開発の基盤整備に対する支援、国際戦略の推進、政府出資を活用した産学官共同での医薬品・医療機器の研究開発の促進等）を果たすための組織を設け、広く	＜評価軸＞ ・AMED に求められる機能を果たすため、適切かつ柔軟な組織・人員体制を整備したか。  ＜評価指標＞ ・組織・人員体制の整備状況。	＜主要な業務実績＞ ■組織・人員体制の整備 ・組織は求められる機能を果たすため、適宜組織変更を実施した。 ・定常的な組織として事業部門 7 部、事業支援部門 2 部、管理部門に 3 部 1 室、理事長、理事の下に 12 部 1 室として運用した。 ・退職等による人員の不足、新規事業に必要な人員は、随時、公募等により産・学・官の各分野から事業を推進するためにふさわしい人材を採用し配置した。  ■機動性・効率性が確保できる柔軟な組織・人員体制の確保 ・組織は戦略推進部を軸に他 6 事業部との縦横連携による全体最適化を図る体制を維持し、政策や研究開発動向の変化等に応じて機動的に対応し、各事業間の緊密な連携による効率性を確保するため、各部室の人員は産・学・官それぞれのノウハウ等を持つ出身者や経験者等の人数バランスを考慮して配置している。 ・機構の運営、事業の推進に必要な人材を長期・安定的に確保し、人員体制の基盤を構築するため「プロパー職員」制度を策定し、平成	＜評価と根拠＞ 評価：B AMED が果たすべき機能を十分に発揮するため様々な組織見直しを行った。また、AMED の職員体制の強化のため、プロパー職員制度を導入し、今後の AMED の根幹を担う人材を採用した。 平成 3 0 年度に無期転換制度を策定し、令和元年度に運用を開始した。 プロジェクトマネジメントに一定の経験、知識、能力等により従事することを理事長が認定する AMED-PO（AMED プログラムオフィサー）の運営を	＜評価に至った理由＞ ・中長期目標・計画の実施状況については、所期の目標を達成していると認められるため、評価を B とする。  ・AMED に求められる機能を果たすための組織・人員体制を構築し、運用した。組織全体の創薬シーズの横断的評価や戦略立案を行う「創薬戦略部」の整備（平成 29 年 7 月）などの迅速な組織・人員体制の強化を実施した。また、機構の運営事業の推進に必要な人材を長期的に確保するためのプロパー職			

	<p>員体制を整備することとする。</p>	<p>産・学・官から優秀な人材を登用するなど、当該業務を推進するために適切な人員を配置する。</p> <p>関連する政策や医療分野の研究開発動向の変化、業務の進捗状況に応じ機動性・効率性が確保できるような柔軟な組織・人員体制を整備する。</p>		<p>29年度から運用を開始した。平成30年4月1日付で6名、令和元年4月1日付で8名を採用した。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>平成25年4月の改正労働契約法の施行により、無期転換ルールが制度化されたことに伴い、平成30年9月にAMEDとしての無期転換制度を策定し、令和元年度において、無期転換制度の運用を開始した。</li> </ul> <p>■AMEDの中長期計画（第Ⅱ期）に向けた組織の見直し</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>当機構に求められる機能、 <ul style="list-style-type: none"> <li>医療に関する研究開発マネジメントの実現</li> <li>実用化に向けた支援(知的財産のマネジメントへの取組を含む)の推進</li> <li>研究開発の基盤の整備</li> <li>国際戦略の推進</li> <li>産学官連携等の取組の推進</li> </ul> </li> </ul> <p>などを発揮するための体制の構築等を推進。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>基礎から実用化まで切れ目ない研究開発支援を一体的に行うとともに、健康・医療戦略、医療分野研究開発推進計画に基づき、モダリティ等による6つの統合プロジェクトに再編し、新たな医療技術等を様々な疾患に横断的に展開する体制を構築。</li> <li>内部統制等のトップマネジメント機能を強化する体制を構築。</li> </ul>	<p>継続的に行った。</p> <p>PDPSP0等について利益相反マネジメントルールを適切に運用して、専門人材の登用・確保を行う等の取組を実施した。</p> <p>AMEDの第2期中長期計画に向けて、疾患を限定しないモダリティ等の6つの統合プロジェクトに再編し、新たな医療技術等を様々な疾患に横断的に展開するための体制の構築、ガバナンス強化など組織の見直しを行った。</p> <p>以上から目標を達成していると認められる。</p> <p>【組織・人員体制の整備】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>組織は求められる機能を果たすため、12部1室として運用した。欠員が生じた際には、公募等により、各分野から経験と知識を有した人材を採用して配置した。</li> </ul> <p>【機動性・効率性が確保できる柔軟な組織・人員体制の確保】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>戦略推進部を軸に他6事業部との縦横連携による全体最適化を図れる体制を維持するため、産・学・官から経験者を人数バランスを考慮し人員配置を行っている。</li> </ul>	<p>員の導入などの取組を進めた。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>PD・PS・P0について、利益相反マネジメントルールを適切に運用しつつ、人材の登用・確保を行った。</li> </ul>	
	<p>特に、AMEDにおけるマネジメントにおいて重要な役割を果たすPD、<u>PS</u>、P0等、高度の専門性が必要とされる者に</p>	<p>また、特に、PD、PS、P0等、高度の専門性が必要とされる者については、産学官からの優れた人材の登用を積極</p>	<p>&lt;評価軸&gt;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>高度の専門性が必要とされる者については、産学官からの優れた人材の登用を積極的に行っ</li> </ul>	<p>■PD、PS、P0等の産学官からの登用</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>プログラム・ディレクター（PD）、プログラム・スーパーバイザー（PS）、プログラム・オフィサー（P0）は、機構に求められる機能である優れた基礎研究の成果を臨床研究・産業化に繋げる一貫した研究開発マネジメントの中心的な役割として、研究分野に関して優れた学識経験や研究開発の実績等を有し、研究開発課題の評</li> </ul>	<p>【PD、PS、P0等の産学官からの登用等】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>PD、PS、P0については、研究開発課題の評価及び業務運営に関して見識を有する専門家を産・学・官の各分野</li> </ul>		



	<p>については、産学官からの優れた人材の登用を積極的に行うこととする。また、利益相反の防止や透明性の確保にも配慮しつつ、外部人材を登用するものとする。</p>	<p>的に行うこととする。また、利益相反の防止や透明性の確保にも配慮しつつ、外部人材を登用する。</p>	<p>たか。</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・利益相反の防止や透明性の確保にも配慮しつつ、外部人材を登用したか。</li> </ul> <p>＜評価指標＞</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・産学官からの優れた人材の積極的登用状況</li> <li>・利益相反の防止や透明性の確保にも配慮した、外部人材の登用状況</li> </ul> <p>＜モニタリング指標＞</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・PD/PS/PO の委嘱件数</li> </ul>	<p>価及び業務運営に関して見識を有する専門家を産・学・官の各分野から厳正に人選し、利益相反を十分に配慮して、外部より委嘱して登用した。</p> <p>■利益相反・透明性に配慮した外部人材の登用</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・利益相反の防止及び透明性の確保に係る対応として、「研究開発課題評価に関する規則」において利益相反に係る基準を規定するとともに、PD・PS・PO をホームページで公表した。また、個別研究課題の選定のための評価を行う事前評価委員会の委員については、採択課題の公表時に合わせてホームページで公表するように努めた。</li> </ul> <p>＜平成 29 年度主務大臣による評価を踏まえた課題＞</p> <p>■指摘事項</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・委託研究開発契約書の紛失事案の発生について、事案発生後講じられた管理体制が再発防止策として有効に機能するか今後も注視する必要がある。</li> </ul> <p>【対応状況】</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・再発防止のために講じた、契約書保管状況のチェックや保管キャビネットの鍵貸出等の管理体制については、有効に機能しており、以降紛失事例は発生していない。</li> </ul>	<p>から源泉に人選し、利益相反に十分に配慮して外部より委嘱し登用している。</p> <p>【利益相反・透明性に配慮した外部人材の登用</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>・個別課題選定の事前評価委員についても、利益相反に係る基準に基づき外部より委嘱、登用し、採択課題の公表に合わせてホームページでの公表に努めている。</li> </ul>	
--	--	--	---	---	---	--

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			
Ⅱ―(1)―②	(1) 業務運営の効率化に関する事項 ② P D C A サイクルの徹底		
当該項目の重要度、困難度	－	関連する政策評価・行政事業レビュー	－

2. 主要な経年データ									
	評価対象となる指標	達成目標	基準値等 (前中長期目標期間最終年度値等)	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	(参考情報) 当該年度までの累積値等、必要な情報
	中間・事後評価委員会の実施回数			66 回	109 回	123 回	128 回	123 回	

	中長期目標	中長期計画	主な評価指標	法人の主な実績等・自己評価		主務大臣による評価			
						(見込評価)		(期間実績評価)	
				主な業務実績等	自己評価	評価	B	評価	
	AMED で行っている事業については厳格な評価を行い、不断の業務改善を行うこととする。評価に当たっては、外部の専門家・有識者を活用するなど適切な体制を構築することとする。また、評価結果をその後の事業改善にフィードバックするなど、PDCA サイクルを徹底する。	研究事業については、外部有識者からなる評価委員会による評価を行うとともに、AMED の行う事業について、中長期目標に示された目標の達成に向けて年度ごとの計画を適切に定めるとともに、中長期計画及び年度計画の評価を行い評価結果を公表する。また、評価結果は、次年度以降の業務改善につなげる PDCA サイクルを徹底することにより効率的・効果的な業務を行う。	＜評価軸＞ ・AMED で行っている事業については厳格な評価を行い、不断の業務改善を行ったか。 ・評価結果をその後の事業改善にフィードバックするなど、PDCA サイクルを徹底したか。  ＜評価指標＞ ・AMED で行っている事業についての評価の実施状況 ・PDCA サイクルの実施状況	＜主要な業務実績＞ ■研究成果に係る中間・事後評価の実施 ・中間・事後評価が必要な研究課題について、外部有識者により構成される「課題評価委員会」を令和元年度までに 123 回開催。評価結果について、研究者にフィードバックし、また、適切に公表するとともに、追加配賦の課題選択、翌年度の研究費の配分、研究課題や事業の改善に活用した。 ・委員の選任にあたっては、必要に応じて生物統計家を選任するなどし、適切な研究デザイン、コントロールの選択、サンプルサイズ設計等の評価を可能とした。 ・PO の進捗管理のもと進捗に問題があると判断された課題や書面審査の結果必要と認めた課題をヒアリング審査の対象とするなど、効率的・効果的な評価の実施に努めた。また、中止等の判断を適切に行うため、中間評価を行う段階に至るまでの手続フローを作成・共有した。  ■年度計画に沿った進捗状況の把握と評価 ・年度計画の達成に向けて、定期的に業務の進捗状況を把握・管理するため「業務と予算に関する会議」として体制を構築	＜評価と根拠＞ 評価：B 目標・計画に基づき、年度計画に沿った進捗の把握と評価、研究成果に係る中間・事後評価の実施、医療分野研究開発速度の最大化に資する進捗管理、研究評価・課題管理の改善に向けた検討に基づく取組を着実に実施し、着実な業務運営がなされている。以上から目標を達成していると認められる。  【研究成果に係る中間・事後評価の実施】 ・中間・事後評価が必要な研究課題について、外部有識者により構成される課題評	＜評価に至った理由＞ ・中長期目標・計画の実施状況については、所期の目標を達成していると認められるため、評価を B とする。  ・研究成果に係る中間・事後評価の実施、年度計画に沿った進捗の把握と評価、医療分野研究開発速度の最大化に資する進捗管理、研究評価・課題管理の改善に向けた検討を着実に実施した。			

			<div>＜モニタリング指標＞</div> <div>・ 中間・事後評価委員会の実施回数</div>	<div>し、実施。</div> <div>・ 機構が実施する事業については、定期的（例年、10 月及び3 月に実施）に「業務及び予算に関する会議」（理事長、理事、執行役、統括役、各部部長により構成）を開催し、全ての部門の部長クラスからの業務の進捗状況の報告、それを基にした意見交換を行うとともに、必要に応じて理事長から業務改善等の指示を行った。これに対して、全ての部門は対応方針を作成し、次の同会議において対応状況を報告することにより業務の進捗管理を行った。対応方針は、複数の部局の連携も含めた担当部局、対応内容、対応スケジュールを明確化、具体化し、フォローアップを効率的・効果的に実施できるものにした。</div> <div>・ 毎年度の業務実績の評価は自己評価委員会及び外部評価委員会、研究・経営評議会で実施し、評価結果を HP で公表した。</div> <table><tr><td>中間・事後評価委員会の実施回数</td><td>平成 27 年度</td><td>平成 28 年度</td><td>平成 29 年度</td><td>平成 30 年度</td><td>令和元年度</td></tr><tr><td>(回数)</td><td>66 回</td><td>109 回</td><td>123 回</td><td>128 回</td><td>123 回</td></tr></table>	中間・事後評価委員会の実施回数	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	(回数)	66 回	109 回	123 回	128 回	123 回	<div>価委員会による評価を実施し、その結果を研究者にフィードバックするとともに、追加配賦の課題選択や翌年度の研究費の配分、研究課題や事業の改善に活用している。</div> <div>・ 中間・事後評価の実施に当たっては、書面審査とヒアリング審査を適宜使い分けることによる、効率的な評価の実施が進められている。</div> <div>【年度計画に沿った進捗状況の把握】</div> <div>・ 年度計画に沿った進捗の把握と評価を着実に実施したことは評価できる。</div>		
中間・事後評価委員会の実施回数	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														
(回数)	66 回	109 回	123 回	128 回	123 回														
事業部門各部 / 課	一方、研究者の研究活動の円滑化にも十分配慮し、医療研究開発速度の最大化に資する進捗管理を実現する。	<div>＜評価軸＞</div> <div>・ 研究者の研究活動の円滑化にも十分配慮し、医療研究開発速度の最大化に資する進捗管理を実現したか。</div> <div>＜評価指標＞</div> <div>・ 医療研究開発の進捗管理状況</div>	<div>■医療研究開発速度の最大化に資する進捗管理</div> <div>・ 平成 29 年度に医薬品分野における研究開発マネジメントチェック項目を導入し平成 30 年度はその着実な活用を進めるとともに、医療機器分野及び再生医療分野における研究開発マネジメントチェック項目を導入・活用することで、研究成果の実用化を目指した、研究開発速度の最大化に資する進捗管理を推進した。</div> <div>・ 研究代表者が提出する進捗状況申告書等を基に、各領域担当の PS、PO や外部有識者とともに研究代表者へのヒアリングやサイトビジット、班会議への参加等を行い、研究開発の進捗状況を把握し、必要に応じて研究代表者への指導、助言を行い、適切に課題管理を行った。</div> <div>・ 進捗管理の結果を踏まえて追加配賦や次年度の研究費配分を検討し追加配賦により研究の進展が期待できる課題の加速を図った。</div>	<div>【医療研究開発速度の最大化に資する進捗管理】</div> <div>・ 医療分野研究開発速度の最大化に資する進捗管理、研究評価・課題管理の改善に向けた検討に基づく取組を着実に実施し、着実な業務運営がなされている。</div>															

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			
Ⅱ―(1)―③	(1) 業務運営の効率化に関する事項		
	③適切な調達の実施		
当該項目の重要度、困難度	—	関連する政策評価・行政事業レビュー	—

2. 主要な経年データ									
	評価対象となる指標	達成目標	基準値等 (前中長期目標期間 最終年度値等)	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	(参考情報) 当該年度までの累積値等、必要な情報

	中長期目標	中長期計画	主な評価指標	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	
	調達案件については、主務大臣や契約監視委員会によるチェックの下、一般競争入札を原則としつつも、随意契約できる事由を会計規程等において明確化し、公正性・透明性を確保しつつ、合理的な調達を実施する。公正かつ透明な調達手続による適切で、迅速かつ効果的な調達を実現する観点から、機構が策定した「調達等合理化計画」に基づく取組を着実に実施する。	物品調達等の契約については、主務大臣や契約監視委員会によるチェックの下、一般競争入札の厳格な適用により公平性、透明性を確保するとともに、随意契約によることができる基準を会計規程等において明確化し、公平性・透明性を確保しつつ、合理的な調達を実施する。公正かつ透明な調達手続による適切で、迅速かつ効果的な調達を実現する観点から、「調達等合理化計画」に基づく取組を着実に進めるとともに、さらなる改	<評価軸> ・公正性・透明性を確保しつつ、合理的な調達を実施したか。  <評価指標> ・合理的な調達の取組状況	<主要な業務実績> ■合理的な調達に向けた取組  ・物品等の調達に当たっては一般競争入札を原則とし、随意契約に依らざるを得ない場合は、会計規程等で規定されている随意契約基準に沿った調達に限定すると共に、定期的に契約監視委員会による点検を行い、契約情報及び契約監視委員会の開催実績を HP 上で公開することで、公平性・透明性を確保しつつ、合理的な調達を実施した。  ・各年度の調達等合理化計画の自己評価を踏まえ、年度毎に調達等合理化計画を作成、契約監視委員会による点検後、当該計画を HP 上で公開した。  ・調達等合理化計画に基づき、事務・事業の特性を踏まえた適正な随意契約並びに効果的な規模の単価契約・一括調達を実施すると共に専用の Web サイトによる入札関係書類の提供を推進した。  ・一者応札の改善に向け、他法人の取組を研究し、平成 30 年度より新たに参加者確認公募制度を整備し、元年度調達より運用を開始した。	<評価と根拠> 評価：B  ・目標、計画に基づき策定した、各年度の「調達等合理化計画」に基づき、合理的な調達に向けた取組を着実に実施した。 ・平成 27 年度に比べ、随意契約は金額ベースで大幅に減少している。 ・契約審査委員会において 2 千万円以上の案件について全件を審査したうえで随意契約を行なった。 ・また、競争性、透明性、利便性の確保方策として参加者確認公募、郵便入札を導入した。 ・ホームページでの各種情報の公表による公平性・透明性の確保などを行った。 以上から目標を達成していると認められる。	<評価と根拠> ・中長期目標・計画の実施状況については、所期の目標を達成していると認められるため、評価を B とする。  ・各年度の調達等合理化計画に基づき、合理的な調達に向けた取組を着実に実施するとともに、ホームページで各種情報を公表することで、公平性・透明性が確保されている。			

		<p>善を実施する。</p>	<p>・令和元年度下期より、応札者が入札にかかる拘束時間や経費削減を可能とすることで、入札参加機会拡大を図ることとして郵便入札を導入した。</p> <p>・また、契約審査委員会による２千万円以上の新規随意契約の全件について随意契約基準との整合性の点検等による調達個別案件の確認等を通じ、調達に関するガバナンスの徹底を図った。</p> <p>・令和元年度と平成２７年度の調達契約比較</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>契約実績総数：４,１６４件（調達契約総数１,０３９件、研究契約総数３,１２５件）</li> <li>競争性のある契約のうち調達契約：１３１件  調達契約総数に占める割合 平成２７年度１０.０％  →令和元年度１２.６％（２.６ポイント増、金額ベースで５４.２ポイント増）</li> <li>競争性のない随意契約のうち調達契約：９０８件  調達契約総数に占める割合 平成２７年度９０.０％  →令和元年度８７.４％（２.６ポイント減、金額ベースで５４.２ポイント減）</li> </ul> <p>また、調達契約における競争性のない随意契約については、平成２７年度 ７１８件 ３９億円に対し、令和元年度 ９０８件 １３億円と金額ベースでは大きく減少した。</p> <p>令和元年度と平成２７年度の調達契約比較（単位：件、億円）</p> <table> <tr> <th rowspan="2"></th><th colspan="2">平成２７年度</th><th colspan="2">令和元年度</th><th colspan="2">比較増△減</th></tr> <tr> <th>件数 (100%)</th><th>金額 (100%)</th><th>件数 (100%)</th><th>金額 (100%)</th><th>件数 (0.0%)</th><th>金額 (0.0%)</th></tr> <tr> <td>調達契約総数</td><td>798</td><td>52</td><td>1,039</td><td>61</td><td>241</td><td>9</td></tr> <tr> <td>競争性のある契約</td><td>(10.0%) ) 80</td><td>(24.8%) ) 13</td><td>(12.6%) ) 131</td><td>(79.0%) ) 48</td><td>(2.6%) ) 51</td><td>(54.2%) ) 35</td></tr> <tr> <td>競争入札</td><td>(9.6%) ) 77</td><td>(24.7%) ) 13</td><td>(9.9%) ) 103</td><td>(71.0%) ) 43</td><td>(0.3%) ) 26</td><td>(46.3%) ) 30</td></tr> <tr> <td>企画競争等</td><td>(0.4%) 3</td><td>(0.1%) 0</td><td>(1.3%) 13</td><td>(3.8%) 2</td><td>(0.9%) 10</td><td>(3.7%) 2</td></tr> <tr> <td>参加者確認公募</td><td>-</td><td>-</td><td>(1.4%) 15</td><td>(4.2%) 3</td><td>(1.4%) 15</td><td>(4.2%) 3</td></tr> <tr> <td>競争性のない随意契約</td><td>(90.0%) ) 718</td><td>(75.2%) ) 39</td><td>(87.4%) ) 908</td><td>(21.0%) ) 13</td><td>(△2.6%) ) 190</td><td>(△54.2%) ) △26</td></tr> </table> <p>(注１) 計数は、それぞれ四捨五入しているため、合計において一致しない場合がある。  (注２) 比較増△減の（ ）書きは、令和元年度の対平成２７年度差分である。  (注３) 補正予算に関しては、経年比較のために除外してある。</p> <p>・令和元年度調達等合理化計画の実施結果の詳細は以下の通りである。</p> <p>１． 調達の現状と要因の分析</p> <p>令和元年度の契約状況</p>		平成２７年度		令和元年度		比較増△減		件数 (100%)	金額 (100%)	件数 (100%)	金額 (100%)	件数 (0.0%)	金額 (0.0%)	調達契約総数	798	52	1,039	61	241	9	競争性のある契約	(10.0%) ) 80	(24.8%) ) 13	(12.6%) ) 131	(79.0%) ) 48	(2.6%) ) 51	(54.2%) ) 35	競争入札	(9.6%) ) 77	(24.7%) ) 13	(9.9%) ) 103	(71.0%) ) 43	(0.3%) ) 26	(46.3%) ) 30	企画競争等	(0.4%) 3	(0.1%) 0	(1.3%) 13	(3.8%) 2	(0.9%) 10	(3.7%) 2	参加者確認公募	-	-	(1.4%) 15	(4.2%) 3	(1.4%) 15	(4.2%) 3	競争性のない随意契約	(90.0%) ) 718	(75.2%) ) 39	(87.4%) ) 908	(21.0%) ) 13	(△2.6%) ) 190	(△54.2%) ) △26	<p>【合理的な調達に向けた取組】</p> <p>・ 調達にあたっては、調達等合理化計画及び機構の会計規程等に沿って、厳正な取扱いを行っており、入札公告及び契約情報等をホームページで公表することで、公平性・透明性を確保している。</p> <p>・ 重点的に取り組む分野においては、他法人の事例研究の結果、平成３０年度に新たに参加者確認公募制度を整備し、令和元年度の調達から実施しており競争性のない随意契約や一者応札の更なる削減の礎を築くことができた。また、令和元年度より郵便等による入札を導入し、遠隔地の応札者の利便を図るとともに、応札者拡大を図った。</p>		
	平成２７年度		令和元年度		比較増△減																																																								
	件数 (100%)	金額 (100%)	件数 (100%)	金額 (100%)	件数 (0.0%)	金額 (0.0%)																																																							
調達契約総数	798	52	1,039	61	241	9																																																							
競争性のある契約	(10.0%) ) 80	(24.8%) ) 13	(12.6%) ) 131	(79.0%) ) 48	(2.6%) ) 51	(54.2%) ) 35																																																							
競争入札	(9.6%) ) 77	(24.7%) ) 13	(9.9%) ) 103	(71.0%) ) 43	(0.3%) ) 26	(46.3%) ) 30																																																							
企画競争等	(0.4%) 3	(0.1%) 0	(1.3%) 13	(3.8%) 2	(0.9%) 10	(3.7%) 2																																																							
参加者確認公募	-	-	(1.4%) 15	(4.2%) 3	(1.4%) 15	(4.2%) 3																																																							
競争性のない随意契約	(90.0%) ) 718	(75.2%) ) 39	(87.4%) ) 908	(21.0%) ) 13	(△2.6%) ) 190	(△54.2%) ) △26																																																							

表 1 令和元年度の国立研究開発法人日本医療研究開発機構の調達全体像  
(単位：件、億円)

	平成 27 年度		令和元年度		比較増△減	
	件数	金額	件数	金額	件数	金額
競争入札等	(1. 8%) 77	(1. 1%) 13	(2. 5%) 103	(3. 8%) 43	(2. 5%) 26	(3. 8%) 30
企画競争・公募	(81. 0%) 3, 380	(95. 5%) 1, 100	(75. 7%) 3, 153	(95. 1%) 1, 079	(△ 5. 2%) △227	(△ 0. 4%) △21
競争性のある契約 (小計)	(82. 8%) 3, 457	(96. 6%) 1, 113	(78. 2%) 3, 256	(98. 9%) 1, 122	(△ 4. 6%) △201	(2. 3%) 9
競争性のない随意契約	(17. 2%) 718	(3. 4%) 39	(21. 8%) 908	(1. 1%) 13	(4. 6%) 190	(△ 2. 3%) △26
合 計	(100%) 4, 175	(100%) 1, 152	(100%) 4, 164	(100%) 1, 135	(0. 0%) △11	(0. 0%) △17

(注 1) 計数は、それぞれ四捨五入しているため、合計において一致しない場合がある。  
(注 2) 比較増△減の ( ) 書きは、令和元年度の対平成 27 年度差分である。  
(注 3) 補正予算に関しては、経年比較のために除外してある。

表 2 令和元年度の国立研究開発法人日本医療研究開発機構の一次応札・応募状況  
(単位：件、億円)

		平成 27 年度	令和元年度	比較増△減
2 者以上	件数	(99. 0%) 3, 423	(98. 5%) 3, 206	(△0. 6%) △217
	金額	(99. 3%) 1, 105	(99. 0%) 1, 111	(△0. 3%) 6
1 者以下	件数	(1. 0%) 34	(1. 5%) 50	(0. 6%) 16
	金額	(0. 7%) 8	(0. 9%) 11	(0. 3%) 3
合 計	件数	(100%) 3, 457	(100%) 3, 256	(100%) △201
	金額	(100%) 1, 113	(100%) 1, 122	(100%) 9

(注 1) 計数は、それぞれ四捨五入しているため、合計において一致しない場合がある。  
(注 2) 合計欄は、競争契約（一般競争、指名競争、企画競争、公募）を行った合計数である。  
(注 3) 比較増△減の ( ) 書きは、令和元年度の対平成 27 年度差分である。

2. 重点的に取り組む分野

令和元年度調達等 合理化計画	評価指標	実施結果
(1) 事務・事業の特性を踏まえた適正な随意契約の実施  相手先が限定されるような特殊で専門的な機器や役務調達及び業務の委託においては、事業の特性を踏まえた適正な随意契約を実施する。	【当該取り組みの実施結果】	会計規程及び契約事務の取扱いに定めた随意契約によることができる事由を機構内に説明会等を通じ周知すると共に、総務省行政管理局「独立行政法人の随意契約に係る事務について」等も参照しながら、事業の特性を踏まえた適正な随意契約を実施した。

				<p>(2) 効果的な規模の単価契約・一括調達の実施</p> <p>主に、市場在庫流通物件の調達については、スケールメリットと事務の簡素化につながる事案を中心に単価契約・一括調達の実施を検討する。</p> <p>他方、翻訳等の特定の労働集約型の調達対象においては、フェアトレードを前提とした中小企業配慮に留意する。</p>	<p>【当該取り組みの実施結果、単価契約の件数】</p>	<p>国立研究開発法人日本医療研究開発機構内で共通に使用するものについては、年間使用予定量の集計を行った上で、単価契約等による一括契約を以下の通り実施した。他方、翻訳業務、特定仕様の小口印刷業務等においては、中小企業を対象とした少額調達にも配慮し、調達を実施した。</p> <p>(単価契約の件数)</p> <p>平成 30 年度    令和元年度</p> <p>22 件    →    25 件</p>			
				<p>(3) 専用のWebサイトによる入札関係書類のリリースの推進</p> <p>入札関係書類の専用Webサイトホームページによる入札公告の公示、仕様書、入札説明書等の頒布並びに関連情報のメルマガ発行を通じて応札者の情報アクセス等の利便性向上を図り、多数の応札希望者に情報が行き渡るよう引き続き配慮する。</p>	<p>【当該取り組みの実施結果、入札公示案件に係る入札説明資料のダウンロード者数】</p>	<p>入札公示専用の HP を開設、仕様書、入札説明書等の頒布を効率的に行うと共に、入札に係る質問に対する回答も当該 HP 上で展開し、適時に多数の応札希望者に対し情報が行き渡るよう対応を行った。</p> <p>また、メルマガで、入札公示等の更新情報配信を行うことにより、応札希望者の利便性の向上に努めた。</p> <p>(ダウンロード者数)</p> <p>各公示案件の閲覧業者数の総数は</p> <p>平成 30 年度    令和元年度</p> <p>875 件    →    1,108 件</p>			
				<p>(4) 一者応札の改善</p> <p>一者応札の改善に向け、調達担当者による仕様書の見直し、応札のなかった入札公告等の閲覧者に対し、その理由等を確認するためのアンケート調査を行い、要求担当者にフィードバックすること等により、よ</p>	<p>【当該取り組みの実施結果】</p>	<p>入札辞退者に辞退書の提出やアンケート調査への任意協力を依頼し、辞退理由を要求担当者と共有すると共に、一者応札及び随意契約の改善に向け、平成 30 年度に開始した参加者確認公募制度を適切に運用し、新たに応札者の利便性に配慮</p>			

				<p>りオープンな仕様内容への改善を促すと共に、新たに導入した参加者確認公募制度を活用して、一者応札の改善に継続して取り組む。</p>		<p>して郵便等による入札を開始するなど、調達における公平性・透明性の向上を図った。</p>			
<p>3. 調達に関するガバナンスの徹底</p>									
				<p>(1) 随意契約に関する内部統制の確立</p> <p>新たに随意契約を締結することとなる案件については、契約審査委員会規則に則り、事前に法人内に設置された契約審査委員会（委員長は理事）に報告し、会計規程における「随意契約によることができる事由」との整合性や、より競争性のある調達手続の実施の可否の観点から点検を受けることとする。</p>	<p>【契約審査委員会による点検件数等】</p>	<p>契約審査委員会規則に基づき、新たな随意契約の締結の審査のために、契約審査委員会を4回開催し11件の随意契約審査を実施した。</p> <p>いずれも規程に沿った事由に基づく適正なものとして承認された。</p>			
				<p>(2) 不祥事の発生の未然防止・再発防止のための取組</p> <p>機構全体へ、適正な調達手続等について、職員研修等を通じ周知を行うと共に、マニュアル、調達契約手続一覧表等のメンテナンスを行う。</p> <p>推進体制にある調達等合理化検討会の統括責任者及び副統括責任者が指定するメンバーによる、調達内容の多面的な審査を行うことにより、国立研究開発法人日本医療研究開発機構がその事業の遂行のために資する適正な調</p>	<p>【当該取り組みの実施結果】</p>	<p>機構職員を対象とし、全員が参加できるようにスケジュールに配慮しつつ、調達事務に係る研修を4回実施した。</p> <p>また、経理事務処理に関するマニュアルや様式の追加整備を行い、調達事務に必要な書類を示す既存の調達契約手続き一覧表等とともに電子掲示板等を利用して、引き続き、組織全体に周知を図るなど、不祥事発生の未然防止への取組も行った。</p> <p>さらに、「購入依頼内容相談会」を毎週一回、定期開催する旨周知</p>			



				達であるか、個別のチェックを行う。 必要に応じて要求者に直接説明を求める等の吟味を行うとともに、監事回付の調達同い案件は、要求時回付を確実に行うものとする。		し、購入依頼内容について、多面的な意見を購入依頼部室が得られる機会を提供することで、適正な調達がなされるよう支援を行った。			
--	--	--	--	---	--	---	--	--	--

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			
Ⅱ―(1)―④	(1) 業務運営の効率化に関する事項 ④外部能力の活用		
当該項目の重要度、困難度	－	関連する政策評価・行政事業レビュー	－

2. 主要な経年データ									
	評価対象となる指標	達成目標	基準値等 (前中長期目標期間 最終年度値等)	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	(参考情報) 当該年度までの累積値等、必要な情報

	中長期目標	中長期計画	主な評価指標	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	
	費用対効果、専門性等の観点から、AMED 自ら実施すべき業務、外部の専門機関の活用が適切と考えられる業務を精査し、外部の専門機関の活用が適切と考えられる業務については、外部委託を活用するものとする。	費用対効果、専門性等の観点から、自ら実施すべき業務と外部の専門機関の活用が適切な業務を精査し、外部の専門機関を活用することにより高品質で低コストのサービスが入手できるものについてアウトソーシングを積極的に活用する。	＜評価軸＞ ・外部の専門機関の活用が適切と考えられる業務を精査し、外部の専門機関の活用が適切と考えられる業務については、外部委託を活用したか。  ＜評価指標＞ ・外部委託の活用状況	＜主要な業務実績＞ ■外部委託の活用 ・第一期中長期計画期間を通じ、費用対効果、専門性等の観点から業務を精査し、外部能力の活用が適切と考えられる研究開発支援のための調査研究、研究開発課題採択や評価、事業運営や研究者支援、経理等内部管理業務等各般の業務について、外部委託を推進した。その結果、その結果、平成 27 年度：460 件、平成 28 年度：597 件、平成 29 年度：546 件、平成 30 年度：624 件、令和元年度：447 件を実施した。具体的な取組事例は次のとおり。 ➤ 研究開発支援のための調査研究 ・平成 27 年度再生医療等の産業化促進に向けた細胞入手のための課題調査以降、各年度の調査及び管理支援業務を外部委託した。 ・医療機器開発支援のあり方を検討するため、平成 30 年 11 月に「医療機器開発の重点化に関する検討委員会」を設置して検討を進めた。その際、専門機関に外部委託を行い注目すべきグローバルトレンド、疾病別課題、医療のステークホルダーの課題等の調査・分析を行った。 ・認知症対策官民イノベーション実証基盤整備	＜評価と根拠＞ 評価：B 目標・計画に基づき、費用対効果、専門性等の観点から業務を精査し、外部能力の活用が適切と考えられる業務については外部委託を着実に実施し、着実な業務運営を実施している。以上から目標を達成していると認められる。  【外部委託の活用】 ・費用対効果、専門性等の観点から業務を精査し、外部能力の活用が適切と考えられる業務について、外部委託を推進したことは評価できる。	＜評価に至った理由＞ ・中長期目標・計画の実施状況については、所期の目標を達成していると認められるため、評価を B とする。  ・費用対効果、専門性等の観点から業務を精査し、外部能力の活用が適切と考えられる業務については外部委託を実施している。			

				<p>事業の実施に当たり、「超早期予防」、「生活支援・社会受容」のための新製品・サービス等に関連したニーズ及びシーズの実態を把握するとともに、今後適切な製品・サービスを社会実装するための基盤整備に必要な要素について外部委託による調査を行った。また、今後の認知症研究開発のため、国内各地域の認知症コホートに対し、外部委託により詳細な調査項目など研究内容の実態を把握するための調査を行った。</p> <ul style="list-style-type: none"><li>・未診断疾患イニシアチブ（IRUD）の一環として、未診断疾患患者の診療状況の実態を把握するため、国立、私立大学附属病院の医師を対象とした調査を、調査会社に外部委託した。</li><li>・米国における医療研究開発動向を調査するため、米国の情勢に精通する現地の専門業者に外部委託した。</li><li>・ライフステージにおけるヘルスケア・医療機器動向を検討するため、専門機関に外部委託を行い、（１）高齢化により衰える 機能の補完、QOL の向上に関する調査、（２）小児・成育分野等の医療技術開発動向に関する調査、（３）ライフステージ横断的なヘルスケア・医療機器の動向調査、の３つの調査を実施した。</li><li>・米国における医療研究開発動向を調査するため、米国の情勢に精通する現地の専門業者に外部委託した。</li></ul> <p>➤ 研究課題採択、評価</p> <ul style="list-style-type: none"><li>・平成 28 年度に評価委員の委嘱に係る業務の一部を集約・一元化し、その業務を派遣職員が担う体制を構築した。</li><li>・事前・中間・事後評価の各課題評価にオンライン評価システムを利用し、外部委託により研究課題の評価・集計、評価委員会の準備に係る各種資料作成等を実施した。</li><li>・国際レビューアの導入にあたり、各事業部における負担軽減のため、国際レビューア候補者の依頼手続きや必要な情報の収集・連絡調整等の業務について、平成 30 年 9 月から外部委託した。</li></ul>		
--	--	--	--	---	--	--

				<ul style="list-style-type: none"><li>・レビューアを導入する取組に際して、平成 29 年度はレビューアの探索、候補者への打診、内諾、平成 30 年度には内諾済みレビューアへの査読依頼から、19 名のレビューアによる書類査読の実施、謝金支払までの支援業務について、外部委託した。</li><li>・評価委員会がスケジュール上、複数重なった際に受付・誘導等業務を外部委託した。</li><li>・医療研究開発革新基盤創成事業では、採択から契約の間に、応募機関の財務状況を確認するため外部調査機関による財務状況の確認を行い、シーズとなる知的財産の特許性判断の参考資料とするための先行技術調査を調査機関に外部委託した。また、契約のための条件調整に際して法律的問題について随時弁護士に相談できる体制を構築した。</li></ul> <p>➤ 事業運営や研究者支援</p> <ul style="list-style-type: none"><li>・平成 29 年度からオンラインによる班会議システムを導入し、班会議の日程調整の効率化や報告事項の共有化を図った。</li><li>・製薬企業出身者、弁理士など専門人材による機動的な相談対応を可能とすべく、外部委託により「AMED 知財リエゾン」を全国に配置した。また、知財リエゾンと「AMED ふらっと®」を一体的に外部委託することにより、研究開始早期からマッチング機会の提供まで、一貫した支援を実施した。</li><li>・年間約 70 件におよぶ各種評価会やシンポジウム、領域会議の会議運営を、平成 28 年度から外部委託した。</li><li>・業務効率化の一環として、領域運営においての定型的・補助的業務を外部委託した。</li><li>・再生医療研究交流会、再生医療公開シンポジウムの実施にあたり、情報セキュリティを考慮した申込み・受付システム構築、プログラム・抄録集の編集作業、YouTube 配信等の業務のほか、会場での保安業務を外部委託した。</li><li>・次世代がん医療創生研究事業と革新的がん医療実用化研究事業における各事業の研究開発課題の進捗管理を補助し、開発方針等につ</li></ul>			
--	--	--	--	---	--	--	--

				<p>いて適切な助言や支援を行うサポート機関を外部委託した。</p> <ul style="list-style-type: none"><li>・成果報告会運営に関して、情報セキュリティを考慮した研究開発代表との資料送受信や申込み Web 構築、プログラム・抄録集の編集作業等の業務を外部委託した。</li><li>・研究成果の海外展開を行うためのアフリカでのシンポジウムやニュージーランドでのワークショップを外部委託した。また、1 ヶ月で6件の国際ワークショップを開催するにあたり、開催準備のノウハウや報告書作成のための専門知識を有する専門業者に、ワークショップ開催支援を外部委託した。</li><li>・橋渡し研究戦略的推進プログラムの成果活用支援における拠点のシーズのポートフォリオ戦略の策定、企業リエゾンの支援、国際展開の支援を外部委託した。</li><li>・医療研究開発革新基盤創成事業では、採択課題の管理や推進支援に必要となる専門的な情報の収集を目的として調査を外注した。また、課題管理の効率化・省力化のために事務局支援機能のアウトソーシングを行った。</li><li>・AMS の検索分析機能の強化のため“PubMed”型の用語辞書を活用したキーワード等の付与を、医学薬学系の論文データベースに対するキーワード付けの実績がある機関に委託した。</li><li>・AMED 知財情報基盤システム保守、令和元年度AMED オンライン課題評価システム機能拡張等のシステム開発業務を実施した。</li></ul> <p>➤ 内部管理業務</p> <ul style="list-style-type: none"><li>・経理伝票処理に関し外部委託した。また。新財務会計システムの運用開始に向けて、仕様書作成にも関与したコンサルティング会社に開発支援業務を外部委託した。</li><li>・専門的見地からの見直しが不可欠であること等から、業務合理化及び IT 化のための業務分析業務の一部を外部委託した。公募型プロジェクト業務フローの可視化、業務プロセスでの改善項目の洗い出し、IT 化を抽出した。</li><li>・専門性の観点からホームページの大幅な情報</li></ul>		
--	--	--	--	---	--	--

				<p>拡充に向けてのコンテンツ作成・掲載業務の支援を外部委託すると共にホームページのリニューアルを行うため、コンテンツマネジメントシステム等の導入・開発を外部委託した。</p> <p>・内部統制システム構築に、専門的知見を有する機関に外部委託を行い、業務記述書、業務フロー図、リスクアセスメントシートを作成した。</p>			
--	--	--	--	--	--	--	--

4. その他参考情報
特になし。