資料４

国立研究開発法人日本医療研究開発機構に関する評価軸等について（第２期）

中長期目標（第２期）	評価軸	評価指標	モニタリング指標
Ⅲ．研究開発の成果の最大化その他の業務の質の向上に関する事項 **（１）AMED に求められる機能を発揮するための体制の構築等** **①　医療に関する研究開発のマネジメント** 疾患を限定しないモダリティ等の６つの統合プロジェクト毎に、関係府省の医療分野の研究開発関連予算を集約し、基礎から実用化までの研究開発を一元的かつ一貫してマネジメントする体制を構築する。 具体的には、世界の最新の情勢を把握したプログラムディレクター（PD）、プログラムスーパーバイザー（PS）、プログラムオフィサー（PO）等を配置し、研究開発のマネジメント体制を構築する。配置された PD 等が、研究の実施、研究動向の把握・調査、シーズの探査・育成研究の強化（スクリーニングや最適化研究）、優れた基礎研究成果を臨床研究、治験及び産業化へつなげるためのマネジメント（進捗管理・助言、規制対応等）並びに適切な研究実施のための監視・管理機能などのマネジメント機能を果たす。 各統合プロジェクトにおいて、「予防／診断／治療／予後・QOL」という開発目的を明確にし、ライフステージを俯瞰した健康寿命延伸を意識した取組となるようマネジメントを行う。また、患者や医療現場、研究者、産業界等からのニーズを理事長の下においたアドバイザリーボード等で把握しつつ、AMED Management System（AMS）の活	• 配置された PD、PS、PO 等が、プロジェクトマネジメント機能を果たしたか。 • 各統合プロジェクトにおいて、個々の事業・研究課題の「予防/診断/治療/予後・QOL」という開発目的を明確にし、ライフステージを俯瞰した健康寿命延伸を意識した取組となるようマネジメントを行ったか。 • 患者や医療現場、研究者、産業界等からのニーズを理事長の下においたアドバイザリーボード等で把握したか。 • AMS の活用、基礎と実用化の橋渡し、データシェアの促進などの事業間連携を推進したか。 • 各統合プロジェクト間の連携を十分に確保したか。 • （２）④ゲノム・データ基盤プロジェクト、⑤疾患基礎研究プロジェクト及び⑥シーズ創出・研究基盤プロジェクトについて、情報の共有や研究成	• 研究・経営評議会の取組状況 • プロジェクトマネジメントの取組状況 • アドバイザリーボードの取組状況 • 事業間の連携の進捗状況 • 各統合プロジェクト間の連携の進捗状況 • 左記のプロジェクトにおける情報共有および研究成果の他研究への展開に向けた取組状況 • 他の資金配分機関、インハウス研究機関や民間企業における研究開発との連携に関する進捗状況	• PDPSPO 会議実施回数 • 複数の事業間の連絡会・シンポジウム等の実施回数 • 統合プロジェクト全体の PDPSPO 会議等の実施回数 • 複数の統合プロジェクトの合同 PDPSPO 会議等の実施回数 • 評価委員会の設置数 • 評価委員会の開催実施回数

中長期目標（第２期）	評価軸	評価指標	モニタリング指標
用、トランスレーショナル・リサーチ（TR）やリバース・トランスレーショナル・リサーチ（rTR）による基礎と実用化の橋渡し、研究成果の有効活用や他領域への展開のためのデータシェアの促進などの事業間連携を推進する。 さらに、各統合プロジェクト間の連携を十分に確保する。特に（２）④ゲノム・データ基盤プロジェクト、⑤疾患基礎研究プロジェクト及び⑥シーズ開発・研究基盤プロジェクトについては、他の研究の基礎・基盤となる性格のプロジェクトであることから、情報の共有や研究成果の他の研究への展開を図る。また、他の資金配分機関、インハウス研究機関や民間企業の研究開発とも連携して統合プロジェクトを推進する。科学研究費助成事業等で生まれたシーズも活用しつつ統合プロジェクトを推進する。融合領域については、他の資源配分機関とも適切に連携・分担を図る。 疾患領域に関連した研究開発は上記の統合プロジェクトの中で実施する。その際、多様な疾患への対応が必要であること、感染症対策など機動的な対応が必要であることから、統合プロジェクトの中で行われる研究開発を特定の疾患ごとに柔軟にマネジメントできるように推進する。特に、2040 年の人口動態を見据え、現在及び将来の我が国において社会課題となる疾患分野（がん、生活習慣病（循環器、糖尿病等）、精神・神経疾患、老年医学・認知症、難病、成育、感染症（AMR を含む。）等）について、戦略的・体系的な研究開発が推進されるよう、具体的な疾患に関するプロジェクト間の連携を常時十分に確保するとともに、研究課題採択後に予算規模や研究状況等を把握・検証し、対外的に明らかにするほか、関係府省において事業の検討等の参考にする。 このため、統合プロジェクト横断的に対応でき	果の他の研究への展開を図ったか。 • 他の資金配分機関、インハウス研究機関や民間企業の研究開発とも連携して統合プロジェクトを推進したか。 • 科学研究費助成事業等で生まれたシーズも活用しつつ統合プロジェクトを推進したか。 • 融合領域について、他の資源配分機関とも適切に連携・分担を図ったか。 • 現在及び将来の我が国において社会課題となる疾患分野について、戦略的・体系的な研究開発が推進されるよう、具体的な疾患に関するプロジェクト間の連携を常時十分に確保したか。研究課題の状況を把握・検証し、対外的に明らかにするほか、事業の検討等の参考にしたか。 • 現在及び将来の我が国において社会課題となる疾患分野については、それぞれの疾患領域に豊富な知見を有するコーディネーターの下で、疾患ごとのマネジメントを行ったか。 • 難病やがん等の疾患領域については、病態解明等の基礎的な研究から医薬品等の実用化まで一貫した研究開発が推進されるよう、充分に留意したか。 • 難病について、厚生労働科学研究における難病の実態把握、診断基準・診断ガイドライン等の作成等に資する調査及び研究から、AMED における実用化を目指した基礎的な研究、診断法、医薬品等の研究開発まで、切れ目なく実臨床につながる研究開発が行われるよう、厚生労働省と連携し、患者の実態とニーズを十分に把握したうえで、研究開発のマネジメントを行ったか。 • 個別研究課題の選定においてピア・レビューを行うための評価委員会を設置し、評価の質及び公正性・透明性の一層の向上を図り、将来的な成果につながるシーズの育成や人材育成等の視点にも	• 科学研究費助成事業等で生まれたシーズを活用した統合プロジェクトの進捗状況 • 融合領域に関する他の資源配分機関との取組状況 • 我が国において社会課題となる疾患分野に関するプロジェクト間の連携状況および研究課題についての把握・検証・公表・活用状況 • 我が国において社会課題となる疾患分野に関してコーディネーターの下でのマネジメントの取組状況 • 厚生労働科学研究との連携等を通じた難病に関する患者の実態とニーズを十分に把握した研究開発のマネジメントの取組状況 • 個別研究課題の選定における評価委員会の設置・実施状況 • ピア・レビュー方法等における評価システムの共通化・最適化に関する取組状況 • シンクタンク機能に関する取組状況	

中長期目標（第２期）	評価軸	評価指標	モニタリング指標
る体制の下で、特定疾患ごとのマネジメントを行う。特に、現在及び将来の我が国において社会課題となる上記の疾患分野については、それぞれの疾患領域に豊富な知見を有するコーディネーターの下で、疾患ごとのマネジメントを行う。その際、難病やがん等の疾患領域については、病態解明等の基礎的な研究から医薬品等の実用化まで一貫した研究開発が推進されるよう、十分に留意する。 特に、難病については、その種類が多い一方で症例数が少ないという制約の中で病態解明や治療法の開発を行う特性を踏まえる必要がある。厚生労働科学研究における難病の実態把握、診断基準・診断ガイドライン等の作成等に資する調査及び研究から、AMED における実用化を目指した基礎的な研究、診断法、医薬品等の研究開発まで、切れ目なく実臨床につながる研究開発が行われるよう、厚生労働省と連携し、患者の実態とニーズを十分に把握したうえで、研究開発のマネジメントを行う。 個別研究課題の選定においてピア・レビューを行うための評価委員会を設置し、評価の質及び公正性・透明性の一層の向上を図り、将来的な成果につながるシーズの育成や人材育成等の視点にも留意しつつ、成果が見込まれる研究課題を選定する。ピア・レビューの方法等について、国内外の知見の収集を行い、これまで各分野で異なっていた評価システムの共通化・最適化を進める。 学会、産業界、他の政府機関等の外部の知見も活用し、国内外の技術開発動向を把握し、シンクタンク機能を果たす。	留意しつつ、成果が見込まれる研究課題を選定したか。 • ピア・レビューの方法等について、国内外の知見の収集を行い、これまで各分野で異なっていた評価システムの共通化・最適化を進めたか。 • 学会、産業界、他の政府機関等の外部の知見も活用し、国内外の技術開発動向を把握し、シンクタンク機能を果たしたか。		
② 研究不正防止の取組の推進 基礎研究及び臨床研究における不正防止の取組を推進するため、専門の部署を置き、自らが配	• 自らが配分する研究費により実施される研究に対して、公正かつ適正な実施の確保を図ったか。	• AMED で実施されている研究の公正かつ適正な実施	• 研究不正防止に係る説明会の開催回数及び受講者

中長期目標（第２期）	評価軸	評価指標	モニタリング指標
分する研究費により実施される研究に対して、公正かつ適正な実施の確保を図るとともに、他の関係機関と連携を図りながら、業務を通じた医療分野の研究開発に関する研究不正の防止に関するノウハウの蓄積及び専門的な人材の育成等に努める。	• 他の関係機関と連携を図りながら、業務を通じた医療分野の研究開発に関する研究不正の防止に関するノウハウの蓄積及び専門的な人材の育成に努めたか。	の確保に向けた取組状況 • 研究不正の防止に関するノウハウの蓄積、専門的な人材育成の取組状況	数 • 研究倫理教育プログラムの履修確認報告された課題数
③　研究データマネジメント 研究の進捗状況の把握、研究データの管理（データ入力、集計、解析）、研究成果や知的財産の管理等の研究マネジメントを効率的に実施する。 AMED が実施した研究開発から得られたデータが持続的に共有されるよう、研究データ基盤のクラウド化をはじめとするデータ共有の取組を推進する。（２）④ゲノム・データ基盤プロジェクトにおいてデータの共有を推進し、その実施状況を踏まえつつ他の統合プロジェクトへの展開を検討する。	• 研究の進捗状況の把握、研究データの管理（データ入力、集計、解析）、研究成果や知的財産の管理等の研究マネジメントを効率的に実施したか。 • AMED が実施した研究開発から得られたデータが持続的に共有されるよう、研究データ基盤のクラウド化をはじめとするデータ共有に向けた取組を推進したか。 • （２）④ゲノム・データ基盤プロジェクトにおけるデータ共有の実施状況を踏まえつつ他の統合プロジェクトへの展開を検討したか。	• 研究データマネジメントの取組状況 • 研究データ基盤のクラウド化をはじめとしたデータ共有に関する取組状況 • 他の統合プロジェクトへの展開の検討状況	• AMS への登録件数 • AMEDfind への登録件数 • ARS での審査会実施件数 • DMP の提出件数
④　実用化に向けた支援 研究成果の実用化に向け、戦略的な知財管理を行うとともに、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下「PMDA」という。）や官民の支援機関等とも連携して、インキュベーション機能や産学官連携のマッチング機能を果たす。 具体的には、令和２年度までに研究成果が実用化につながった事例の要因分析や成果活用実績の把握を行い、研究開発マネジメント手法や実用化の支援手法の改善に活用する。また、研究機関の知的財産取得への支援、ホームページ等を活用した研究成果と企業のニーズとのマッチング支援を行う。さらに、PMDA や株式会社 INCJ 等との連携を通じた実用化を促進する取組を行う。これらの取組を実施することにより、第１期中長期目標期間の実績等を踏まえ、令和６年度までの達成目標として、	• 研究成果の実用化に向け、戦略的な知財管理を行ったか。 • PMDA や官民の支援機関等とも連携して、インキュベーション機能や産学官連携のマッチング機能を果たしたか。 • 令和２年度までに研究成果が実用化につながった事例の要因分析や成果活用実績の把握を行い、研究開発マネジメント手法や実用化の支援手法の改善に活用したか。 • 研究機関の知的財産取得への支援、ホームページ等を活用した企業とのマッチング支援を行ったか。 • PMDA、株式会社 INCJ との連携を通じた実用化を促進する取組を行ったか。	• 知的財産支援の実施状況 • 研究機関の知財取得等件数 • インキュベーション機能や産学官連携のマッチング機能の取組状況 • 企業とのマッチング成立件数 • 研究開発マネジメント手法や実用化の支援手法の改善に向けた取組状況	• 知的財産管理・相談窓口への相談件数 • PMDA、株式会社 INCJ と連携した出口戦略の策定・助言数

中長期目標（第２期）	評価軸	評価指標	モニタリング指標
・研究機関の知財取得件数　100 件 ・企業とのマッチング成立（協力協定締結、企業導出等）件数　290 件 を目指す。ただし、上記の目標の達成に向けて、知的財産取得への支援、マッチング支援を行う際には、支援対象の質に十分配慮する。			
⑤　国際戦略の推進 最先端分野における欧米等の研究開発先進国との協力、ゲノム研究におけるアジア諸国との連携をはじめとする国際貢献及び協力は、我が国の研究開発にとっても必要であり、ひいては世界の持続可能な発展につながるものである。加えて、産業化の視点では、真に相手国の医療の発展に寄与する持続的な事業展開を意識しつつ、日本の産業競争力の強化を図る必要がある。 このような認識の下、研究開発の推進に当たり、海外の主要なファンディング機関等の関係機関や専門人材とのネットワーキングを活用するなど適切な国際連携を図る。また、グローバルなデータシェアリングへの戦略的な対応を行う。さらに、海外事務所も活用し国際共同研究の推進・調整や情報収集・発信等を行う。	• 研究開発の推進に当たり、海外の主要なファンディング機関等の関係機関や専門人材とのネットワーキングを活用するなどの国際連携を図ったか。 • グローバルなデータシェアリングへの戦略的な対応を行ったか。 • 海外事務所を活用した国際共同研究の推進・調整や情報収集・発信等を行ったか。	• 国際戦略の検討状況 • 諸外国との関係構築への取組状況 • グローバルなデータシェアリングへの取組状況 • 海外事務所を活用した共同研究や情報収集・発信への取組状況	• 相手国への派遣研究者数 • 相手国からの受け入れ研究者数 • 参加している国際コンソーシアムの数 • 開催した国際ワークショップの数
（２）基礎研究から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施 推進計画に基づき、疾患を限定しないモダリティ等の６つの統合プロジェクトに再編し、統合プロジェクト毎にプロジェクトを推進する。また、６つの統合プロジェクトの中で、（４）に記載するような疾患領域に関連した研究開発も行う。 **①　医薬品プロジェクト** 医療現場のニーズに応える医薬品の実用化を推進するため、創薬標的の探索から臨床研究に至	• 新たなモダリティの創出から各モダリティのデザイン、最適化、活性評価や製造技術等の研究開	＜アウトプット＞ 〇シーズ研究に関する指標	• 応募件数及び採択件数 • 事業に参画している研究

中長期目標（第２期）	評価軸	評価指標	モニタリング指標
るまで、モダリティの特徴や性質を考慮した研究開発を行う。このため、新たなモダリティの創出から各モダリティのデザイン、最適化、活性評価、有効性・安全性評価手法や製造技術等の研究開発まで、モダリティに関する基盤的な研究開発を行う。さらに、様々なモダリティに関する技術・知見等を疾患横断的に活用して新薬創出を目指す。また、創薬デザイン技術や化合物ライブラリー、解析機器の共用など創薬研究開発に必要な支援基盤の構築に取り組む。 特に、以下のようなテーマの研究開発に重点的に取り組む。 • 疾患メカニズムに関するタンパク質間相互作用等に着目した創薬標的の探索 • 化合物の構造解析技術や計算科学を活用した創薬デザイン • 抗体医薬の高機能化・低分子量化や、核酸・中分子医薬のデザイン・合成・評価など、新たなモダリティに関する基盤的な技術 • 新規ドラッグ・デリバリー・システムや、新たなモダリティの活性・物性等評価技術などの周辺技術 • DNA ワクチン等の予防・治療用ワクチン、アジュバント技術 • バイオ医薬品の連続生産技術などの医薬品製造技術 • 免疫チェックポイント阻害剤等の患者層別化に資する、免疫細胞解析とパスウェイ解析等との統合解析による新規バイオマーカー探索技術 これらの取組を実施することにより、令和６年度までの成果目標（KPI）を以下のとおり設定す	発まで、モダリティに関する基盤的な研究開発を行ったか。 • 様々なモダリティに関する技術・知見等を疾患横断的に活用して新薬創出を目指したか。 • 創薬デザイン技術や化合物ライブラリー、解析機器の共用など創薬研究開発に必要な支援基盤の構築に取り組んだか。	・非臨床 POC の取得件数 25 件 ・創薬支援ネットワークの活動による有望創薬シーズの企業導出件数 10 件 ○実用化に関する指標 ・臨床 POC の取得件数 ５件 ○新たなモダリティや先進的な創薬手法に関する指標 ・新モダリティ・先進手法に関する採択課題の割合　75％ （その他管理指標） ○シーズ研究に関する指標 ・創薬支援ネットワークの活動状況 － ３独法（国立研究開発法人理化学研研究所/国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研所/国立研究開発法人産業技術総合研究所）による支援の状況 － 支援継続／終了の状況 ○新たなモダリティや先進的な創薬手法に関する指標 ・創薬等の効率化に資する先進手法の開発状況	者延べ人数 • PMDA へのレギュラトリーサイエンス（RS）戦略相談を行った研究開発課題数 • 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 • 左記の評価軸に係る取組状況

中長期目標（第２期）	評価軸	評価指標	モニタリング指標
る。 ＜アウトプット＞ ○シーズ研究に関する指標 ・非臨床POCの取得件数　25件 ・創薬支援ネットワークの活動による有望創薬シーズの企業導出件数　10件 ○実用化に関する指標 ・臨床POCの取得件数　５件 ○新たなモダリティや先進的な創薬手法に関する指標 ・新モダリティ・先進手法に関する採択課題の割合　75％ （その他管理指標） ○シーズ研究に関する指標 ・創薬支援ネットワークの活動状況 － ３独法（国立研究開発法人理化学研研究所/国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研所/国立研究開発法人産業技術総合研究所）による支援の状況 － 支援継続／終了の状況 ○新たなモダリティや先進的な創薬手法に関する指標 ・創薬等の効率化に資する先進手法の開発状況 ＜アウトカム＞ ○実用化に関する指標 ・シーズの企業への導出件数　60件 ・薬事承認件数（新薬、適応拡大）　10件 ○新たなモダリティや先進的な創薬手法に関する指標 ・創薬等の効率化に資する先進手法の企業導出件数　120件		＜アウトカム＞ ○実用化に関する指標 ・シーズの企業への導出件数　60 件 ・薬事承認件数（新薬、適応拡大）　10 件 ○新たなモダリティや先進的な創薬手法に関する指標 ・創薬等の効率化に資する先進手法の企業導出件数　120 件 （その他管理指標） ○実用化に関する指標 ・研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況	

中長期目標（第２期）	評価軸	評価指標	モニタリング指標
（その他管理指標） ○実用化に関する指標 ・研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況			
② 医療機器・ヘルスケアプロジェクト AI・IoT 技術や計測技術、ロボティクス技術等を融合的に活用し、診断・治療の高度化のための医療機器・システム、医療現場のニーズが大きい医療機器や、予防・高齢者の QOL 向上に資する医療機器・ヘルスケアに関する研究開発を行う。また、医療分野以外の研究者や企業も含め適切に研究開発を行うことができるよう、必要な支援に取り組む。 特に、以下のようなテーマの研究開発に重点的に取り組む。 • 計測、微細加工、生体親和性の高い素材等、医療分野への応用を目指した要素技術 • 検査・診断の簡易化や、精度向上・常時計測等の早期化に関する技術 • 診断・治療の高度化や一体化のための、デジタル化・データ利活用や複数機器・システムの統合化等に関する技術 • 生活習慣病等の予防のための行動変容を促すデバイス・ソフトウェア • 高齢化により衰える機能の補完やQOL向上のための機器 これらの取組を実施することにより、令和６年度までの成果目標（KPI）を以下のとおり設定する。 ＜アウトプット＞ ○シーズ研究に関する指標	• AI・IoT 技術や計測技術、ロボティクス技術等を融合的に活用し、診断・治療の高度化のための医療機器・システム、医療現場のニーズが大きい医療機器や、予防・高齢者の QOL 向上に資する医療機器・ヘルスケアに関する研究開発を行ったか。 • 医療分野以外の研究者や企業も含め適切に研究開発を行うことができるよう、必要な支援に取り組んだか。	＜アウトプット＞ ○シーズ研究に関する指標 ・非臨床 POC の取得件数 25 件 ○医療機器の開発に関する指標 ・クラスⅢ・Ⅳ医療機器の開発を計画する採択課題の割合　25% ○ヘルスケア関連機器等の開発に関する指標 ・ヘルスケア関連機器等の実証完了件数　35 件 ＜アウトカム＞ ○シーズ研究に関する指標 ・シーズの他事業や企業等への導出件数　15 件 ○医療機器の開発に関する指標 ・クラスⅢ・Ⅳ医療機器の薬事承認件数　20 件 ○ヘルスケア関連機器等の開発に関する指標 ・ヘルスケア関連機器等の上市等の件数　10	• 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 へのレギュラトリーサイエンス（RS）戦略相談を行った研究開発課題数 • 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 • 左記の評価軸に係る取組状況

中長期目標（第２期）	評価軸	評価指標	モニタリング指標
・非臨床 POC の取得件数　25 件 ○医療機器の開発に関する指標 ・クラスⅢ・Ⅳ医療機器の開発を計画する採択課題の割合　25% ○ヘルスケア関連機器等の開発に関する指標 ・ヘルスケア関連機器等の実証完了件数　35 件 ＜アウトカム＞ ○シーズ研究に関する指標 ・シーズの他事業や企業等への導出件数　15 件 ○医療機器の開発に関する指標 ・クラスⅢ・Ⅳ医療機器の薬事承認件数　20 件 ○ヘルスケア関連機器等の開発に関する指標 ・ヘルスケア関連機器等の上市等の件数　10 件 （その他管理指標） ○医療機器の開発に関する指標 ・研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況		件 （その他管理指標） ○医療機器の開発に関する指標 ・研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況	
③　再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト 再生・細胞医療の実用化に向け、細胞培養・分化誘導等に関する基礎研究、疾患・組織別の非臨床・臨床研究や製造基盤技術の開発、疾患特異的 iPS 細胞等を活用した病態解明・創薬研究及び必要な基盤構築を行う。また、遺伝子治療について、遺伝子導入技術や遺伝子編集技術に関する研究開発を行う。さらに、これらの分野融合的な研究開発を推進する。 特に、以下のようなテーマの研究開発に重点的に取り組む。	• 再生・細胞医療の実用化に向け、細胞培養・分化誘導等に関する基礎研究、疾患・組織別の非臨床・臨床研究や製造基盤技術の開発、疾患特異的 iPS 細胞等を活用した病態解明・創薬研究及び必要な基盤構築を行ったか。 • 遺伝子治療について、遺伝子導入技術や遺伝子編集技術に関する研究開発を行うとともに、これらの分野融合的な研究開発を推進したか。	＜アウトプット＞ ○シーズ研究に関する指標 ・非臨床 POC の取得件数 25 件（うち遺伝子治療５件） ・研究成果の科学誌（インパクトファクター５以上）への論文掲載件数　400 件 ○実用化に関する指標 ・治験に移行した研究課	• 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 へのレギュラトリーサイエンス（RS）戦略相談を行った研究開発課題数 • 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 • 左記の評価軸に係る取組状況

中長期目標（第２期）	評価軸	評価指標	モニタリング指標
• 再生医療技術の研究段階から臨床実装への一層の推進 • 幹細胞の特性に応じた細胞株の樹立、培養、分化誘導等に関する基礎的な技術 • 疾患特異的iPS細胞の適応拡大に資する研究開発、灌流培養を用いた臓器チップの開発、及びこれらを応用した難病等の病態解明・創薬研究や薬剤代謝等の前臨床試験 • 再生・細胞医療や創薬研究等に用いる細胞原料を含む生体材料や研究資源の品質管理・供給基盤構築 • 細胞組織の三次元化等の臓器再生に関する技術 • 遺伝子治療に関する安全で高生産かつ安価な国産ホスト細胞樹立及び標準的なウイルスベクターの構築 • オフターゲットでの変異発現等の既存の技術課題への対応可能な遺伝子編集技術、及び免疫細胞機能の強化や幹細胞を経ない分化誘導等の、再生・細胞医療と遺伝子治療の融合研究を進めるための基礎的な技術 • 大量培養や精製、品質評価・管理手法等の製造関連技術 これらの取組を実施することにより、令和６年度までの成果目標（KPI）を以下のとおり設定する。 ＜アウトプット＞ ○シーズ研究に関する指標 ・非臨床POCの取得件数　25件（うち遺伝子治療　５件） ・研究成果の科学誌（インパクトファクター５以上）への論文掲載件数　400件		題数　20件（うち遺伝子治療　２件） （その他管理指標） ○シーズ研究に関する指標 ・研究成果の科学誌（インパクトファクター５未満等の他の科学誌）への論文掲載状況 ○実用化に関する指標 ・臨床研究に移行した研究課題数（うち遺伝子治療の研究課題数） ＜アウトカム＞ ○シーズ研究に関する指標 ・シーズの他事業への導出件数　30件 ○実用化に関する指標 ・企業へ導出される段階に至った研究課題数10件（うち遺伝子治療２件）（うち企業へ導出された件数　２件） ・薬事承認件数（新薬、適応拡大）　２件以上 （その他管理指標） ○シーズ研究に関する指標 ・関連する国際的なガイドライン等策定への参画状況 ○実用化に関する指標 ・研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況	

中長期目標（第２期）	評価軸	評価指標	モニタリング指標
○実用化に関する指標 ・治験に移行した研究課題数　20件（うち遺伝子治療　２件） （その他管理指標） ○シーズ研究に関する指標 ・研究成果の科学誌（インパクトファクター５未満等の他の科学誌）への論文掲載状況 ○実用化に関する指標 ・臨床研究に移行した研究課題数（うち遺伝子治療の研究課題数） ＜アウトカム＞ ○シーズ研究に関する指標 ・シーズの他事業への導出件数　30件 ○実用化に関する指標 ・企業へ導出される段階に至った研究課題数10件（うち遺伝子治療　２件）（うち企業へ導出された件数　２件） ・薬事承認件数（新薬、適応拡大）　２件以上 （その他管理指標） ○シーズ研究に関する指標 ・関連する国際的なガイドライン等策定への参画状況 ○実用化に関する指標 ・研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況 ・遺伝子治療の製造に関する要素技術の研究開発の進展状況		・遺伝子治療の製造に関する要素技術の研究開発の進展状況	
④　ゲノム・データ基盤プロジェクト 健常人及び疾患のバイオバンク・コホート等の情報に加え、臨床研究等を行う際のコホート・レジストリ、臨床情報等を統合し、研究開発を推進するために必要なデータ基盤を構築する。また、	• 健常人及び疾患のバイオバンク・コホート等の情報に加え、臨床研究等を行う際のコホート・レジストリ、臨床情報等を統合し、研究開発を推進するために必要なデータ基盤を構築したか。	＜アウトプット＞ ○データ基盤を活用した研究に関する指標 ・非臨床 POC の取得件数	• 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 へのレギュラトリー

中長期目標（第２期）	評価軸	評価指標	モニタリング指標
一人ひとりの治療精度を格段に向上させ、治療法のない患者に新たな治療を提供するといったがんや難病等の医療の発展や、個別化医療の推進など、がんや難病等患者のより良い医療の推進のため、全ゲノム解析等実行計画に従い、全ゲノム解析等を推進する。特にがんの全ゲノム解析は、臨床実装を見据え、がんの再発分野等の課題を明確に設定した上で推進する。その際、詳細で正確な臨床情報等が得られる検体を重点的に解析するとともに、個人情報等に配慮しつつ研究開発や創薬等に活用できるデータシェアリングを進め、研究成果として得られたデータを共有する。 ゲノム・データ基盤の整備を推進するとともに、全ゲノム解析等実行計画に従い実行した全ゲノム解析結果等のデータの利活用を促進することで、ライフステージを俯瞰して遺伝子変異・多型と疾患の発症との関連等から疾患の発症・重症化予防、診断、治療等に資する研究開発を推進し、病態解明を含めたゲノム医療、個別化医療の実現を目指す。 また、レジストリ等の医療データを活用した新たな診断・介入法の実装に向けた研究、無形の医療技術やそれに関連するシステムの改善、改良を目指したデータ収集等の研究を行う。 特に、以下のようなテーマの研究開発に重点的に取り組む。 • 全ゲノム解析を活用したがんの新規原因遺伝子等の探索や、さらにオミックス解析も活用した難病等の新規原因遺伝子等の探索による、病態解明、早期診断に資する研究 • ゲノム解析等を活用した糖尿病、認知症等の多因子疾患に関する予防、早期診断及び治療最適化に資する研究	• 一人ひとりの治療精度を格段に向上させ、治療法のない患者に新たな治験を提供するといったがんや難病等の医療の発展や、個別化医療の推進等、がんや難病等患者のより良い医療の推進のため、全ゲノム解析等実行計画に従い、全ゲノム解析等を推進したか。 • がんの全ゲノム解析については、臨床実装を見据え、がんの再発分野等の課題を明確に設定した上で推進したか。その際、詳細で正確な臨床情報等が得られる検体を重点的に解析するとともに、個人情報等に配慮しつつ研究開発や創薬等に活用できるデータシェアリングを進め、特に、AMED で行う研究開発については、研究成果として得られたデータを共有したか。 • ゲノム医療、個別化医療の実現を目指し、ゲノム・データ基盤の整備を推進するとともに、全ゲノム解析等実行計画に従い実行した全ゲノム解析結果等のデータの利活用を促進することで、ライフステージを俯瞰して遺伝子変異・多型と疾患の発症との関連等から疾患の発症・重症化予防、診断、治療等に資する研究開発を推進したか。 • レジストリ等の医療データ基盤を活用した新たな診断・介入法の実装に向けた研究や無形の医療技術やそれに関連するシステムの改善、改良を目指したデータ収集等の研究を行ったか。	５件 ・臨床 POC の取得件数 10 件 ・研究成果の科学誌（インパクトファクター５以上）への論文掲載件数　900 件 ・新たな疾患発症メカニズム解明件数　10 件 ・新たな疾患関連遺伝子・薬剤関連遺伝子の同定数　25 件 （その他管理指標） 〇データ基盤構築・活用に関する指標 ・データ基盤構築の状況（連携、解析体制を含む） ・アカデミア及び企業によるデータ基盤の利活用実績 〇データ基盤を活用した研究に関する指標 ・研究成果の科学誌（インパクトファクター５未満等の他の科学誌）への論文掲載状況 ＜アウトカム＞ 〇データ基盤を活用した研究に関する指標 ・シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数　25 件	サイエンス（RS）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 • 左記の評価軸に係る取組状況

中長期目標（第２期）	評価軸	評価指標	モニタリング指標
これらの取組を実施することにより、令和６年度までの成果目標（KPI）を以下のとおり設定する。 ＜アウトプット＞ ○データ基盤を活用した研究に関する指標 ・非臨床POCの取得件数　５件 ・臨床POCの取得件数　10件 ・研究成果の科学誌（インパクトファクター５以上）への論文掲載件数　900件 ・新たな疾患発症メカニズム解明件数　10件 ・新たな疾患関連遺伝子・薬剤関連遺伝子の同定数　25件 （その他管理指標） ○データ基盤構築・活用に関する指標 ・データ基盤構築の状況（連携、解析体制を含む） ・アカデミア及び企業によるデータ基盤の利活用実績 ○データ基盤を活用した研究に関する指標 ・研究成果の科学誌（インパクトファクター５未満等の他の科学誌）への論文掲載状況 ＜アウトカム＞ ○データ基盤を活用した研究に関する指標 ・シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数　25件 ・臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数　15件 ・疾患の原因となる遺伝子変異に基づく新規の診断・治療法の開発件数　５件		・臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数　15 件 ・疾患の原因となる遺伝子変異に基づく新規の診断・治療法の開発件数　５件	
⑤　疾患基礎研究プロジェクト 医療分野の研究開発への応用を目指し、脳機	• 医療分野の研究開発への応用を目指し、脳機能、	＜アウトプット＞	• 応募件数及び採択件数

中長期目標（第２期）	評価軸	評価指標	モニタリング指標
能、免疫、老化等の生命現象の機能解明や、様々な疾患を対象にした疾患メカニズムの解明等のための基礎的な研究開発を行う。これらの研究開発成果を臨床研究開発や他の統合プロジェクトにおける研究開発に結び付けるとともに、臨床上の課題を取り込んだ研究開発を行うことにより、基礎から実用化まで一貫した循環型の研究を支える基盤を構築する。 これらの取組を実施することにより、令和６年度までの成果目標（KPI）を以下のとおり設定する。 ＜アウトプット＞ ○シーズ研究に関する指標 ・研究成果の科学誌（インパクトファクター５以上）への論文掲載件数　400件 （その他管理指標） ○シーズ研究に関する指標 ・研究成果の科学誌（インパクトファクター５未満等の他の科学誌）への論文掲載状況 ＜アウトカム＞ ○シーズ研究に関する指標 ・シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数　10 件	免疫、老化等の生命現象の機能解明や、様々な疾患を対象にした疾患メカニズムの解明等のための基礎的な研究開発を行ったか。 • 研究開発成果を臨床研究開発や他の統合プロジェクトにおける研究開発に結び付けたか。 • 臨床上の課題を取り込んだ研究開発を行うことにより、基礎から実用化まで一貫した循環型の研究を支える基盤を構築したか。	○シーズ研究に関する指標 ・研究成果の科学誌（インパクトファクター５以上）への論文掲載件数　400 件 （その他管理指標） ○シーズ研究に関する指標 ・研究成果の科学誌（インパクトファクター５未満等の他の科学誌）への論文掲載状況 ＜アウトカム＞ ○シーズ研究に関する指標 ・シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数　10 件	• 事業に参画している研究者延べ人数 • PMDA へのレギュラトリーサイエンス（RS）戦略相談を行った研究開発課題数 • 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 • 左記の評価軸に係る取組状況
⑥　シーズ開発・研究基盤プロジェクト アカデミアの組織・分野の枠を超えた研究体制を構築し、新規モダリティの創出に向けた画期的なシーズの創出・育成等の基礎的研究を行うとともに、国際共同研究を実施し、臨床研究開発や他の統合プロジェクトにおける研究開発に結び付ける。 また、橋渡し研究支援拠点や臨床研究中核病院	• アカデミアの組織・分野の枠を超えた研究体制を構築し、新規モダリティの創出に向けた画期的なシーズの創出・育成等の基礎的研究を行ったか。 • 国際共同研究を実施し、臨床研究開発や他の統合プロジェクトにおける研究開発に結び付けたか。 • 橋渡し研究支援拠点や臨床研究中核病院において、シーズの発掘・移転や質の高い臨床研究・治	＜アウトプット＞ ○シーズ研究に関する指標 ・研究成果の科学誌（インパクトファクター５以上）への論文掲載件数　550 件 ○研究基盤に関する指標	• 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 • PMDA へのレギュラトリーサイエンス（RS）戦略相談を行った研究開発課題数 • 機動的な研究推進のため

中長期目標（第２期）	評価軸	評価指標	モニタリング指標
において、シーズの発掘・移転や質の高い臨床研究・治験の実施のための体制や仕組みを整備するとともに、リバース・トランスレーショナル・リサーチ（rTR）、実証研究基盤の構築を推進し、基礎研究から臨床研究まで一貫した循環型の研究支援体制や研究基盤を整備する。 特に、異分野・モダリティ融合的なシーズの研究開発や、上記①～④のプロジェクトに将来的につながりうるシーズの継続的発掘及び育成に取り組む。 これらの取組を実施することにより、令和６年度までの成果目標（KPI）を以下のとおり設定する。 ＜アウトプット＞ ○シーズ研究に関する指標 ・研究成果の科学誌（インパクトファクター５以上）への論文掲載件数　550件 ○研究基盤に関する指標 ・医師主導治験届の提出件数（体外診断用医薬品については臨床性能試験の申請件数）　170件 （その他管理指標） ○シーズ研究に関する指標 ・研究成果の科学誌（インパクトファクター５未満等の他の科学誌）への論文掲載状況 ＜アウトカム＞ ○シーズ研究に関する指標 ・シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数　125件 ○研究基盤に関する指標 ・医薬品等の薬事承認申請の件数　30 件	験の実施のための体制や仕組みを整備したか。 • リバース・トランスレーショナル・リサーチ（rTR）、実証研究基盤の構築を推進し、基礎研究から臨床研究まで一貫した循環型の研究支援体制や研究基盤を整備したか。 • 異分野・モダリティ融合的なシーズの研究開発や、上記①～④のプロジェクトに将来的につながりうるシーズの継続的発掘及び育成に取り組んだか。	・医師主導治験届の提出件数（体外診断用医薬品については臨床性能試験の申請件数）　170件 （その他管理指標） ○シーズ研究に関する指標 ・研究成果の科学誌（インパクトファクター５未満等の他の科学誌）への論文掲載状況 ＜アウトカム＞ ○シーズ研究に関する指標 ・シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数　125 件 ○研究基盤に関する指標 ・医薬品等の薬事承認申請の件数　30 件	年度内に契約変更を実施した課題数 • 左記の評価軸に係る取組状況

中長期目標（第２期）	評価軸	評価指標	モニタリング指標
（３）基金等を活用した中長期的な研究開発の促進等 **①　政府出資を活用した産学官共同での医薬品・医療機器の研究開発の促進等** 政府出資を活用し、革新的な医薬品・医療機器等の創出に向けて、産学官が連携して取り組む研究開発及びその環境の整備を促進する。 当該事業を進めるに当たっては、実用化が困難な革新的医薬品・医療機器等の実用化開発の不確実性を踏まえ、研究開発に係る事業計画・事業目標を含む事業採択のための審査、事業の進捗状況の確認や進捗過程における課題の相談、事業終了時の事業目標等の達成状況等の評価など、政府出資を活用して研究開発等を支援するために必要な実施体制を構築する。また、その進捗状況については、内閣府、文部科学省、厚生労働省及び経済産業省（以下「所管府省」という。）に適宜報告するとともに、所管府省から改善を求められた場合には、これに適切に対応する。	• 実用化が困難な革新的新薬・医療機器等の実用化開発の不確実性を踏まえ、採択のための審査（事業計画・事業目標の審査を含む）、進捗確認や課題の相談、終了時の目標達成状況等の評価（判断基準の策定を含む）など、政府出資を活用して研究開発等を支援するために必要な実施体制を構築しているか。 • 事業フェーズに応じた適切な研究開発マネジメントを行っているか。 • AMED の取組状況や事業の進捗状況について、所管府省に適宜報告をしているか。改善を求められた場合は、これに適切に対応しているか。	• 採択のための審査に係る取組状況（事業計画・事業目標の審査状況） • AMED の取組・事業の進捗や課題の相談に対する対応等の状況 • 終了時の評価に係る取組状況（判断基準の策定状況を含む） • 上記の内容についての所管府省への適時適切な報告	• 応募件数及び採択件数 • 事業に参画している延べ機関数 • PMDA へのレギュラトリーサイエンス（RS）戦略相談を行った研究開発課題数 • 委託金回収率（終了した事業の委託金の回収額／終了した事業の委託金支出額）
②　健康・医療分野におけるムーンショット型研究開発等 科学技術・イノベーション創出の活性化に関する法律（平成 20 年法律第 63 号）第 27 条の２第１項に基づき、国から交付される補助金により基金を設けた。これを活用した同項に規定する特定公募型研究開発業務として、ムーンショット型研究開発制度の下で、ムーンショット型研究開発制度に係る戦略推進会議等を通じて、総合科学技術・イノベーション会議で定める目標とも十分に連携しつつ、ビジョナリー会議の助言等を踏まえて健康・医療戦略推進本部が決定する目標の実現のため、我が国発の破壊的イノベーションの創出を目指し、従来技術の延長にない、より大胆な発想に基づく挑戦的な研究開発（ムーンショット）を、	• 国から交付される補助金による基金を活用した研究開発を推進する体制の整備が進捗したか。 • ムーンショット目標達成及び研究開発構想実現に向けた研究開発を適切に推進したか。 • ムーンショット目標達成及び研究開発構想実現に向けた研究成果が創出されているか。 • 医薬品・医療機器等の産学官共同による研究開発を適切に推進したか。また、その研究成果が創出されているか。	• 研究開発を推進する体制整備の進捗状況 • ムーンショット目標達成及び研究開発構想の実現に向けた活動の進捗状況（PD の任命、PM の公募、戦略推進会議への報告など） • 社会実装に重要な分野横断的な支援の取組 • ムーンショット目標達成及び研究開発構想実現に向けた研究成果の創出及び成果展開（見通しを含	• 関係規程の整備状況 • PD 任命実績 • PM 採択実績 • ポートフォリオ（プロジェクトの構成（組み合わせ）、資源配分等のマネジメント計画）の構築、見直し実績 • 戦略推進会議への報告実績 • 社会実装に重要な分野横断的な研究支援の実績 • 国が定める運用・評価指針

中長期目標（第２期）	評価軸	評価指標	モニタリング指標
AMED の業務内容や目的に照らし所管府省と連携して推進するとともに、基金と企業原資の研究費を組みあわせ、医療上の必要性が高く特に緊要となった医薬品・医療機器等の研究開発を、産学官共同により推進する。また、研究開発の推進においては、その途中段階において適時目標達成の見通しを評価し、研究開発の継続・拡充・中止などを決定する。		む） • 民間資金のマッチングスキームの策定等	に基づく評価等により、優れた進捗が認められるプロジェクト数 • 国際連携及び産業界との連携・橋渡し（スピンアウトを含む）の件数
③　新型コロナウイルスワクチンの開発支援 新型コロナウイルス感染症の感染拡大を根本的に解決するため、有効なワクチンの開発・普及は最優先の課題であり、基礎研究から臨床試験、薬事申請、生産に至る全過程の加速化により実用化を目指す必要がある。 このため、科学技術・イノベーション創出の活性化に関する法律第 27 条の２第１項に基づき造成された基金を活用した同項に規定する特定公募型研究開発業務として、ワクチン開発推進事業において、新型コロナウイルスワクチンの実用化に向けた研究開発を産学官共同により推進する。また、研究開発の推進においては、適時目標達成の見通しを評価し、研究開発の継続・拡充・中止などを決定する。	・国から交付される補助金による基金を活用したワクチン開発を推進する体制の整備が進捗したか。 ・ワクチン実用化に向けた研究開発を適切に推進したか。	・ワクチン開発を推進する体制整備の進捗状況 ・ワクチンの薬事承認申請の件数　１件	・運営委員会の開催実績 ・PMDA へのレギュラトリーサイエンス（RS）戦略相談を行った研究開発課題数 ・左記の評価軸に係る取組状況
④　ワクチン・新規モダリティの研究開発 今後脅威となりうる感染症有事に備え、ワクチンの迅速な開発・供給を可能とするため、ワクチン開発に資する革新的な新規モダリティや感染症ワクチンへの応用等の研究開発を推進する必要がある。	・SCARDA において、国内外における関連分野の研究開発状況を把握・分析し、戦略的な資金配分等がなされたか。 ・国から交付される補助金による基金を活用したワ	・ワクチン開発に資する国内外における関連分野の研究開発動向の把握・分析の状況	・関係者との情報共有会合の開催状況 ・研究課題の提案・応募件数及び参画している研究機関

中長期目標（第２期）	評価軸	評価指標	モニタリング指標
このため、先進的研究開発戦略センター（Strategic Center of Biomedical Advanced Vaccine Research and Development for Preparedness and Response ： SCARDA、以下「SCARDA」という。）において、科学技術・イノベーション創出の活性化に関する法律第27条の２第１項に基づき造成された基金を活用した同項に規定する特定公募型研究開発業務として、ワクチン・新規モダリティ研究開発事業を推進する。同事業においては、ワクチン戦略を踏まえ、国内外における関連分野の研究開発状況を把握・分析し、戦略的な資金配分等を通じた革新的な新規モダリティの研究開発を推進するとともに、ワクチンに関する応用研究や第Ⅱ相までの臨床試験のための研究開発を推進する。また、研究開発の推進においては、適時目標達成の見通しを評価し、研究開発の継続・拡充・中止などを決定する。	クチン・新規モダリティの研究開発を推進する体制の整備が進捗したか。 ・ワクチン開発に資する革新的な新規モダリティや感染症ワクチン等の研究開発を適切に推進したか。 ・有事の際に迅速に研究費配分を行い、ワクチン開発を迅速に推進するための体制等を構築したか。	・ワクチン・新規モダリティの研究開発を推進する体制整備の進捗状況 ・ワクチン開発に資する革新的な新規モダリティや感染症ワクチンの研究開発の推進状況 ・ワクチン開発に資する新規モダリティの研究開発について、非臨床安全性試験以降の研究開発を開始する課題　２件 ・感染症ワクチンの研究開発について、臨床試験を開始する課題　２件 ・有事の際ワクチン開発を迅速に推進するための体制等の構築の進捗状況	数 ・ワクチン戦略関係の他の基金事業やその他の研究等との連携確保のための取組の状況 ・実用化に向けた感染症ワクチン関する研究の採択課題数・PMDA へのレギュラトリーサイエンス（RS）戦略相談を行った研究開発課題数 ・左記の評価軸に係る取組状況
⑤　ワクチン開発のための世界トップレベル研究開発拠点の形成 感染症有事における迅速なワクチン開発のため、独立性・自律性を確保した柔軟な運用を実現し、世界の研究者を惹きつける、これまでにない世界トップレベルの研究開発拠点を中核として、平時から感染症分野に留まらない多様な研究開発及びその環境の整備を促進する必要がある。 このため、科学技術・イノベーション創出の活性化に関する法律第27条の２第１項に基づき造成された基金を活用した同項に規定する特定公募型研究開発業務として、ワクチン開発のための世界トップレベル研究開発拠点の形成事業を推進する。同事業においては、ワクチン戦略を踏まえ、研究開発拠点（フラッグシップ拠点とシナジー効果が期待できる拠点）としての体制整備等を行うとともに、出口	• 国から交付される補助金による基金を活用した拠点形成・研究開発の推進体制の整備が進捗したか。 • ワクチン開発・生産体制強化戦略に基づく研究開発を適切に推進したか。また、その研究成果が創出されているか。 • 感染症有事の際にワクチン等の研究開発を迅速に実施できる、柔軟な体制を構築したか。また、有事の際において、その研究成果が創出されているか。	• 拠点形成数　３件 • 研究開発の推進体制整備の進捗状況 • ワクチン開発・生産体制強化戦略に基づく研究開発の進捗状況と、その研究成果の創出状況 • 有事の際にワクチン等の研究開発を迅速に実施できる、柔軟な体制構築の進捗状況と、その研究成果の創出状況	• 事業に参画している研究者延べ人数（民間及び臨床の別を含む） • 課題評価委員会等の実施状況 • 拠点長会議の開催状況 • シーズの導出数 • 左記の評価軸に係る取組状況

中長期目標（第２期）	評価軸	評価指標	モニタリング指標
を見据えた関連研究を強化・促進する。また、研究開発の推進においては、適時目標達成の見通しを評価し、研究開発の継続・拡充・中止などを決定する。			
⑥　創薬ベンチャーエコシステムの強化 大学等の優れた研究成果や創薬シーズを実用化につなげるため、創薬ベンチャーへの長期的な育成・支援が必要であるが、疾患や対象市場によっては期待される収益率が低く、また、投資の回収までに長期間を要する創薬分野に持続的な投資を呼び込むためには、これまでベンチャーキャピタル（VC）出資の増大に効果のあったベンチャー支援策を参考にしつつ支援を行っていくべきである。具体的には、VC等の目利き力を活かした優良ベンチャーの発掘・育成、VC等の投資能力・規模の拡大、リターンの向上、連続起業家（シリアルアントレプレナー）の育成を含め、我が国における創薬ベンチャーエコシステム全体の底上げを図る必要がある。 このため、科学技術・イノベーション創出の活性化に関する法律第27条の２第１項に基づき造成された基金を活用した同項に規定する特定公募型研究開発業務として、創薬ベンチャーエコシステム強化事業を推進する。同事業においては、ワクチン戦略を踏まえ、認定VCの目利き力を活かして、感染症ワクチン・治療薬開発に転用できる可能性のある革新的なモダリティの実用化開発を行う創薬ベンチャーに対して支援を行う。また、実用化開発の推進においては、適時目標達成の見通しを評価し、実用化開発の継続・拡充・中止などを決定する。	・創薬ベンチャーの実用化開発を推進する体制の整備が進捗し、ワクチンを含む新薬の実用化開発が進展したか（採択案件進捗状況、採択した創薬ベンチャーのフェーズ移行状況（エグジット件数を含む））。 ・創薬ベンチャーエコシステムの底上げが進んだか（採択された創薬ベンチャーへの投資額の増加、認定 VC の投資規模の増大、創薬ベンチャーへの総投資額の増加など）。	・創薬ベンチャーの実用化開発を推進する体制整備の進捗状況 ・採択案件の実用化開発進捗状況 ・採択した創薬ベンチャーのフェーズ移行状況（エグジット件数を含む） ・採択された創薬ベンチャーへの投資額（採択されていない創薬ベンチャーへの投資額との比較を含む） ・認定 VC の投資規模の推移 ・創薬ベンチャーへの総投資額の推移	・VC 認定に係る応募件数及び認定件数 ・創薬ベンチャーの応募件数及び採択件数 ・PMDA へのレギュラトリーサイエンス（RS）戦略相談を行った研究開発課題数 ・左記の評価軸に係る取組状況
（４）疾患領域に関連した研究開発 Ⅲ（１）①で述べた、現在及び将来の我が国において社会課題となる疾患分野については、以下のようなテーマをはじめとして研究開発を推進する。 （がん）	• 配置された PS、PO 等が、プロジェクトマネジメント機能を果たしたか。 • AMS の活用、基礎と実用化の橋渡し、データシェアの促進などの事業間連携を推進したか。 • 各統合プロジェクト間の連携を十分に確保した	• 事業間の連携の進捗状況 • 各統合プロジェクト間の連携の進捗状況 • 我が国において社会課題となる疾患分野に関する	• 我が国において社会課題となる疾患分野に係る連絡会・シンポジウム等の実施回数 • 我が国において社会課題

中長期目標（第２期）	評価軸	評価指標	モニタリング指標
・ がんの生物学的本態解明に迫る研究開発や、患者のがんゲノム情報等の臨床データに基づいた研究開発 ・ 個別化治療に資する診断薬・治療薬の開発や免疫療法や遺伝子治療等をはじめとする新しい治療法の開発 （生活習慣病） ・ 個人に最適な糖尿病等の生活習慣病の重症化予防方法及び重症化後の予後改善、QOL 向上等に資する研究開発。AI 等を利用した生活習慣病の発症を予防する新たな健康づくりの方法の確立 ・ 循環器病の病態解明や革新的な予防、診断、治療、リハビリテーション等に関する方法に資する研究開発 ・ 慢性腎臓病の診断薬や医薬品シーズの探索及び腎疾患の病態解明や診療エビデンスの創出に資する研究開発 ・ 免疫アレルギー疾患の病態解明や予防、診断、治療法に資する研究開発 （精神・神経疾患） ・ 可視化技術導入等による慢性疼痛の機序解明、QOL の向上に資する治療法や、画期的な治療法開発に向けた慢性疼痛の定量的評価の確立に資する研究開発 ・ 精神・神経疾患の克服に向けて、国際連携を通じ治療・診断の標的となり得る分子などの探索及び霊長類の高次脳機能を担う脳の神経回路レベルでの動作原理等の解明 ・ 精神疾患の客観的診断法・障害（disability）評価法や精神疾患の適正な治療法の確立並びに発症予防に資する研究開発	か。 • 現在及び将来の我が国において社会課題となる疾患分野について、戦略的・体系的な研究開発が推進されるよう、具体的な疾患に関するプロジェクト間の連携を常時十分に確保したか。研究課題の状況を把握・検証し、対外的に明らかにするほか、事業の検討等の参考にしたか。 • 現在及び将来の我が国において社会課題となる疾患分野については、それぞれの疾患領域に豊富な知見を有するコーディネーターの下で、疾患ごとのマネジメントを行ったか。 • 難病やがん等の疾患領域については、病態解明等の基礎的な研究から医薬品等の実用化まで一貫した研究開発が推進されるよう、充分に留意したか。	プロジェクト間の連携状況および研究課題についての把握・検証・公表・活用状況	となる疾患分野に係るPSPO 会議等の実施回数

中長期目標（第２期）	評価軸	評価指標	モニタリング指標
（老年医学・認知症） ・ モデル生物を用いた老化制御メカニズム及び臓器連関による臓器・個体老化の基本メカニズム等の解明 ・ 認知症に関する薬剤治験対応コホート構築やゲノム情報等の集積及びこれらを活用したバイオマーカー研究や病態解明等 ・ 認知症に関する非薬物療法の確立及び官民連携による認知症予防・進行抑制の基盤整備 （難病） ・ 様々な個別の難病に関する実用化を目指した病因・病態解明、画期的な診断・治療・予防法の開発に資するエビデンス創出のためのゲノムや臨床データ等の集積、共有化 ・ 上記の取組による病態メカニズム理解に基づく再生・細胞医療、遺伝子治療、核酸医薬などの新規モダリティ等を含む治療法の研究開発 （成育） ・ 周産期・小児期から生殖期に至るまでの心身の健康や疾患に関する予防・診断、早期介入、治療方法の研究開発 ・ 月経関連疾患、更年期障害等の女性ホルモンに関連する疾患に関する研究開発や疾患性差・至適薬物療法など性差にかかわる研究開発 （感染症） ・ ゲノム情報を含む国内外の様々な病原体に関する情報共有や感染症に対する国際的なリスクアセスメントの推進、新型コロナウイ			

中長期目標（第２期）	評価軸	評価指標	モニタリング指標
ルスなどの新型ウイルス等を含む感染症に対する診断薬・治療薬・ワクチン等の研究開発及び新興感染症流行に即刻対応出来る研究開発プラットフォームの構築 ・ BSL４施設を中核とした感染症研究拠点に対する研究支援や、感染症流行地の研究拠点における疫学研究及び創薬標的の探索等、予防・診断・治療に資する基礎的研究、将来のアウトブレークに備えた臨床・疫学等のデータの蓄積・利活用			