

令和3年度における業務実績自己評価報告書概要

国立研究開発法人 日本医療研究開発機構

目次



令和3年度自己評価(概要)	3
I. 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	6
(1) AMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等	6
(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	17
① 医薬品プロジェクト	18
② 医療機器・ヘルスケアプロジェクト	22
③ 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト	25
④ ゲノム・データ基盤プロジェクト	28
⑤ 疾患基礎研究プロジェクト	32
⑥ シーズ開発・研究基盤プロジェクト	35
(3) 基金等を活用した中長期的な研究開発の促進等	38
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	39
② 健康・医療分野におけるムーンショット型研究開発等	42
③ 新型コロナウイルスワクチンの開発支援	45
④ ワクチン・新規モダリティの研究開発	48
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	51
⑥ 創薬ベンチャーエコシステムの強化	53
(4) 疾患領域に関連した研究開発	55
II. 業務運営の効率化に関する事項	58
III. 財務内容の改善に関する事項	63
VI. その他業務運営に関する重要事項	65

令和3年度自己評価(概要)

中長期目標等の項目		年度評価
I.(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マネジメントの実現	A
	②研究不正の取組の推進	
	③研究データマネジメント	
	④実用化へ向けた支援	
	⑤国際戦略の推進	
I.(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	まとめ	A
	①医薬品プロジェクト	s
	②医療機器・ヘルスケアプロジェクト	a
	③再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト	a
	④ゲノム・データ基盤プロジェクト	a
	⑤疾患基礎研究プロジェクト	s
I.(4)疾患領域に関連した研究開発	⑥シーズ開発・研究基盤プロジェクト	a
	-	A
I.(3)基金等を活用した中長期的な研究開発の促進等	まとめ	A
	①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促進等	a
	②健康・医療分野におけるムーンショット型研究開発等	a
	③新型コロナウイルスワクチンの開発支援	a
	④ワクチン・新規モダリティの研究開発	a
	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	a
II.業務運営の効率化に関する事項	⑥創薬ベンチャーエコシステムの強化	a
	-	A
III.財務内容の改善に関する事項	-	B
IV.その他業務運営に関する事項	-	B

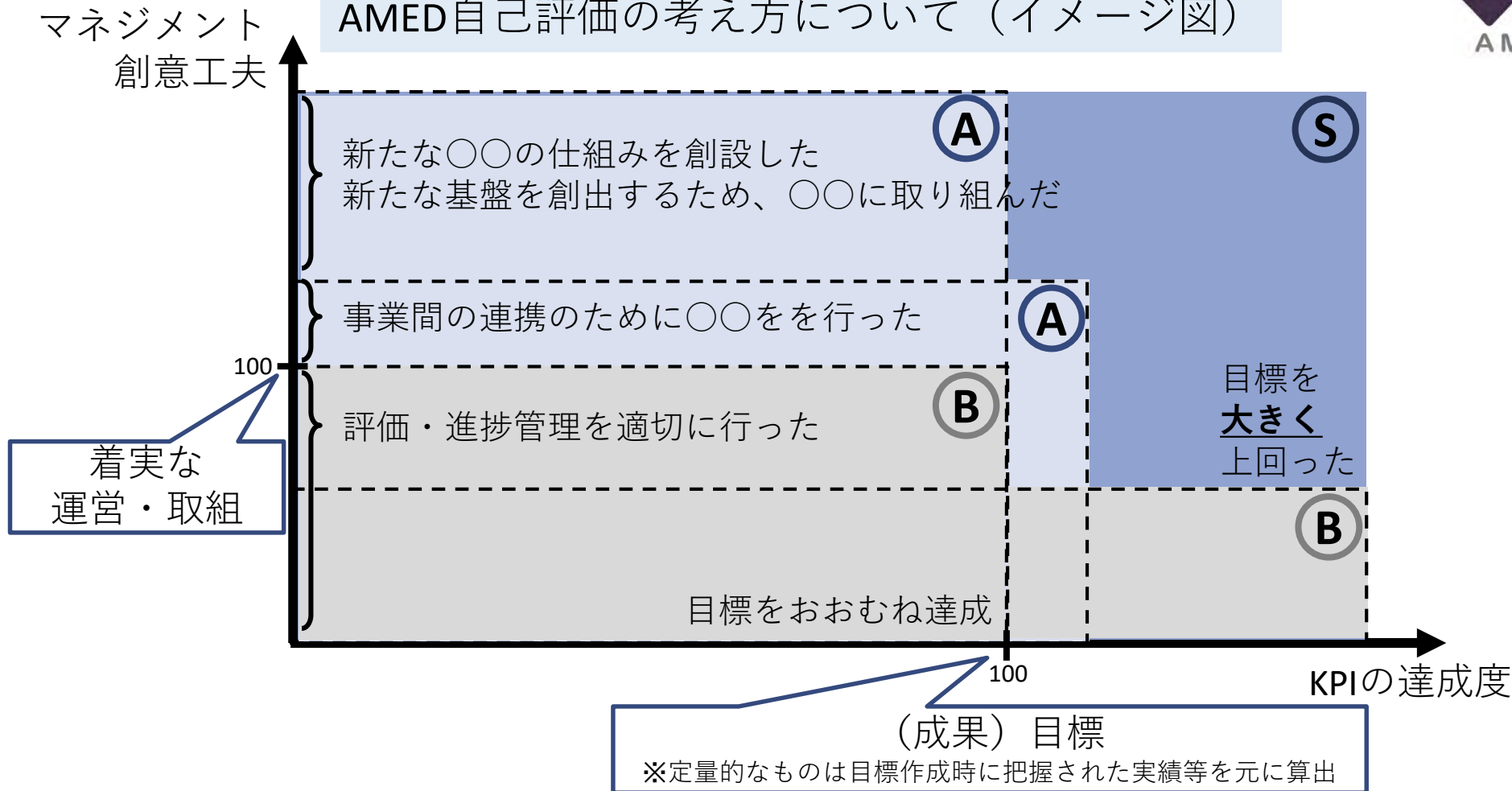
- 令和3年度自己評価は、AMEDの第2期中長期計画期間における2年度目の評価
- 自己評価にあたっては、中長期計画及び年度計画に基づいてモダリティをベースとしたプロジェクトを推進することにより、研究機関による顕著な成果創出状況等を確認することに加え
 - ✓ 基礎から実用化までの一貫した研究開発の推進と成果の実用化を図ったか
 - ✓ 新たな医療技術等を様々な疾患に効果的に展開したか
 - ✓ 疾患領域に関連した研究開発はプロジェクト間の連携により柔軟にマネジメントしたか

という、成果創出に向けたAMEDの寄与(構築した仕組み、マネジメント取組内容等)に焦点を当てた。

AMEDの自己評価における考え方(2)



AMED自己評価の考え方について (イメージ図)



(参考：評価の基準) 機構の目的・業務、中長期目標等に照らし、機構の活動による成果、取組等について

S：特に顕著な成果の創出や将来的な特別な成果の創出の期待等が認められる。

A：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。

B：成果の創出や将来的な成果の創出の期待等が認められ、着実な業務運営がなされている。

C：より一層の工夫、改善等が期待される。

D：抜本的な見直しを含め特段の工夫、改善等を求める。

I. (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、② 研究不正防止の取組の推進、③ 研究データマネジメント、
④ 実用化に向けた支援、⑤ 国際戦略の推進



評 定	AMED二期目の初年度(令和2年度)の総研究課題を令和3年6月に機構内共有したことにより、第一期から第二期への事業移行、統合プロジェクトと疾患領域の双方からの俯瞰的分析等を可能とした。
自己評価 A	同一プロジェクト内における疾患横断的な事業とモダリティ管理となった疾患を特定した事業間のより強い連携が必要であるとともに、医薬品プロジェクトでは、より詳細な検討を加えることにより、幅広い支援が行われている一方、 <u>バイオ医薬品の研究開発課題が比較的少ない</u> という論点を見だし、今後の議論につなげた。 ELSI・PPIやダイバーシティ推進、SDGs対応を「社会共創」として位置づけ、その推進部署を設置し、中長期的な計画策定のための議論を開始した。知財マッチング等による実用化支援、データシステムの基盤強化や改善、研究不正防止、「AMED国際戦略」の策定等でも顕著な取組が認められる。以上より、全体として目標達成に向けて顕著な進捗、取組が認められる。

①医療に関する研究開発のマネジメント

①-1 研究開発マネジメントにおける連携および推進の取組

- PDを中心に6つの統合プロジェクトをマネジメントする体制のもと、各統合プロジェクトの推進を図った。PD全員が集うPD全体会議を3回開催し、第二期の戦略機能の発揮に向けたプロジェクト運営のあり方やAMSによる分析結果、事業間連携の方策、AMED戦略機能向上、調整費の活用等について意見交換を行った。
- 第二期初年度の総研究課題データ(令和2年度2,815課題)を対象に、各統合プロジェクトや疾患領域における、研究課題数や研究費、省庁のバランス、更にAMSの持つ機能を使って「研究の性格」、「開発フェーズ」等又は第一期から第二期への事業移行等に関する分析を行い、図表化して動向が俯瞰できる内部議論用レポートをまとめた。さらに、「医薬品プロジェクト」「医療機器・ヘルスケアプロジェクト」における技術モダリティや研究開発傾向等を課題数、契約額の観点から定量的に分析した。これらの結果を用いてPD全体会議等や関連するPD、PS、DCとの意見交換を行い、以下のように今後議論すべき課題の抽出やあるべき連携の方向性の提示等を行った。また、内部研修等でも内容を周知し、連携に向けた職員の意識啓発を図った。

I. (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、② 研究不正防止の取組の推進、③ 研究データマネジメント、
④ 実用化に向けた支援、⑤ 国際戦略の推進



- 医薬品プロジェクトにおいては病態解析等の基礎研究から医薬品開発までの研究を幅広くカバーしつつ、研究基盤技術の研究もしっかり支援している一方で、低～中分子化合物と比較してバイオ医薬品の研究開発課題が少ないなどの課題点を見だし、今後の研究開発や事業間連携に資する議論につながった。
 - 医療機器・ヘルスケアプロジェクトにおいて、疾患横断的な医療機器開発事業の中にも、特定の疾患を対象とした研究課題がある一方、第二期に医療機器・ヘルスケアプロジェクトに移管された疾患系事業との連携が十分でない可能性等を見いだした。また、他のプロジェクトにも医療機器を対象とした研究課題が存在することを明確化して、PDや事業担当者と議論し、今後の統合プロジェクト間連携の促進につながる論点を提起した。
 - 統合プロジェクトや各事業を俯瞰的に把握する中から、特定の疾患領域を研究する事業・研究課題もAMED自身がモダリティに応じて公募・評価・採択していることを確認する一方、橋渡し研究戦略的推進事業のように拠点支援を目的とした事業の中にも特定の疾患領域を対象とした研究課題があり、今後、AMED公募事業と拠点支援事業の間で評価の一貫性や連携を推奨できる領域等があることを明らかにした。橋渡し研究戦略的推進事業については、令和4年度からリニューアルする機会を捉え、拠点自身が公募し支援する、研究課題等の今後の情報共有についての議論を開始し、今後の連携方策等の方向性を整理した。
- 各統合プロジェクトや各事業等において実施している様々な連携や工夫の取組を事例集としてまとめ、今後の新たな発想やマネジメント向上につなげるため、AMED全職員に共有した。
 - COVID-19研究課題において、デルタ株の減少やその後のオミクロン株の増加による患者数の減少・増加に対応して速やかに計画変更を行うなど柔軟な対応により研究開発の推進を図った。

I . (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、② 研究不正防止の取組の推進、③ 研究データマネジメント、
④ 実用化に向けた支援、⑤ 国際戦略の推進



①-2「社会共創(Social Co-Creation)」を推進する部署の設置

- 令和3年10月1日に組織改正を行い、(1)医療研究開発に伴い生じる倫理的・法的・社会的課題(ELSI)への対応、(2)多様な幸せ(well-being)を実現するためのダイバーシティ推進、(3)Society 5.0における医療研究開発のための持続可能な開発目標(SDGs)への対応を、「社会共創」の取組として位置づけ、組織として推進するための部署「研究公正・社会共創課」を設置した。
- 「社会共創」に関する考え方を社会に広く周知すべく、機構広報誌「AMED Pickup」にて「社会共創」特集号を作成し、オンライン公開した。
- JST社会技術研究開発センター(RISTEX)との連携でオンラインセッションを令和3年11月に開催し、AMED感染症研究開発ELSIプログラムにおける調査の成果を社会に広く還元した。
- 国内初の患者・市民参画(PPI)専門書であるAMED患者・市民参画(PPI)ガイドブックについて、国際共同研究や国際会議等でも活用できるよう英語版の作成と公開に向けた準備を行った。(令和4年4月公開予定)
- リバーstransレーショナルリサーチを活用した産学官共同研究開発プロジェクト(GAPFREE)において、患者参画(PPI)の新たな仕組みを設け、患者の意見をより積極的に踏まえた課題評価を実施し、患者ニーズを踏まえたミッション達成に向けて、効果的に研究開発を推進した。
- ダイバーシティ推進の一環として、PSPO及び課題評価委員の女性専門家比率に関する現状把握を行い、その課題と対応方針をPD全体会議にて共有した。同時に、国の方針を踏まえ、AMEDが後援等する各種行事におけるジェンダーバランスへの配慮要請に向けた検討を行った。
- ELSI研究や総合知の活用、国民の関心が高い疾患領域に関する研究開発の進捗状況等に関する情報共有の工夫等を行うべく、「社会共創」の取組推進に関する中長期の計画を策定するための議論を開始した。

I. (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、② 研究不正防止の取組の推進、③ 研究データマネジメント、④ 実用化に向けた支援、⑤ 国際戦略の推進



②研究不正防止の取組の推進

- 研究倫理教育プログラムの履修及び利益相反管理の実施
 - 資金配分を受けている研究者に研究倫理教育プログラムの履修及び利益相反管理を求め、報告書を提出させた。AMED課題に関わる研究者の利益相反について、透明性を確保し、研究成果の公平性・科学的な客観性に疑念が生じないように研究代表者の利益相反管理状況報告書を公表するためのシステム構築に取りかかった。
- 不正調査に関わる研究機関の職員等向け講習会の実施
 - 資金配分機関の各法人との連携強化を図るとともに、AMEDの先進的施策として、研究機関の研究公正に関わる職員の知識・能力向上のための講習会を開催した。
- 研究公正における「教材」から「人材」への取組
 - 研究データ管理の質向上を目的として開発した指導者育成プログラムを用い、PIクラスの人材を対象に、研究公正の指導者たる人材育成のためのワークショップを7回開催し、リーダー育成を行った。
- 国際標準を目指した研究公正の取組
 - 海外の研究公正教材の日本への導入に向けた調整を実施した。また、国際共同研究に伴う研究公正の実効性を担保するための規定整備を目的として、米、英、独、仏、韓国への状況調査を実施した。
- その他の取組
 - 配分機関間の研究公正情報の共有と連携を図るための「資金配分機関部会打合せ会」を開催した他、AMEDが開発した教材を用いたワークショップや、研究公正人材に関するシンポジウム、研究公正に関する説明会(6回)を実施した。その他、RIOネットワークを運営し、研究公正に関するメールマガジンを毎週水曜日に配信した。

I. (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、② 研究不正防止の取組の推進、③ 研究データマネジメント、
④ 実用化に向けた支援、⑤ 国際戦略の推進



③研究データマネジメント

- 疾患領域のタグ付け情報もAMSシステムに取り込むことにより、統合プロジェクトと疾患領域の縦横な解析を円滑に行う仕組みとした。現行の研究開発タグの適切性や有用性、タグ付与作業の効率化や品質向上の検討を開始した。
- AMSにおけるアクセス権限のより細かい単位での制御、研究課題データの公開可否の識別の容易化や、AMEDfindでの公開データの事業課確認のオンライン化等により、作業効率化を図るとともに、誤公開防止等のための情報セキュリティを強化した。
- 研究開発マネジメントのための更なる基盤強化等に向けた第二期独自の理事長の重点的推進方針として、令和2年度に立ち上げた「三島イニシアティブ」の推進において、AMEDにおける研究開発データの取扱方針を決定し、周知した。(データの活用状況についてはゲノム・データ基盤事業プロジェクトに記載)
 - 「AMEDにおける研究開発データの取扱いに関する基本方針」を策定し、研究開発データの取扱いについてのAMEDの考え方・方針を表明した。
 - 「AMED研究データ利活用に係るガイドライン」等の研究開発データの取扱いに関する研究者向けの教育教材を作成する等AMED研究開発データの利活用促進についての周知を図った。
- データマネジメントプラン(DMP)を基にしたカタログの作成・公開を開始し、研究開発データの2次的な利活用の可能性の拡大や研究開発の実用化促進につなげた。
- 円滑な第三者提供をサポートするための個人情報に関する同意書のひな型及び解説書案について、有識者と意見交換・確認を行い、令和4年度公募の一部課題での使用開始に向けて調整を行っている。

I. (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、② 研究不正防止の取組の推進、③ 研究データマネジメント、
④ 実用化に向けた支援、⑤ 国際戦略の推進



④実用化に向けた支援

- 有望シーズを適時に把握し、知財マネジメント支援やマッチング支援等を行うとともに、新たな取組として支援後のフォローアップ面談を実施し、補足データの取得支援や知財調査等を組み合わせることで、シーズ価値最大化に向けた知財・実用化支援を強化し、研究機関の知財取得数222件、企業とのマッチング成立件数107件達成に貢献した。
- 研究成果の実用化の実態を把握するため、その進捗状況に関する質問項目を追加した知財のフォローアップ調査を行った。
- ベンチャー支援に向けて、AMED内に新たに設置したスタートアップ相談窓口、及びファンディング9機関連携に基づくワンストップ窓口を通じたベンチャー企業からの相談対応、並びにベンチャー企業向け事業説明会・セミナーを他機関と共同して実施した。さらに、株式会社産業革新投資機構との連携の一環として、ベンチャー企業向け講演会を実施して人材育成を推進する等、ベンチャー支援の取組促進を行った。
- 実用化に向けた課題である連携体制の早期構築のため、新たにコンサルタント等の専門家を活用して、研究課題に対するビジネス観点からの助言及び国内外の連携先候補の提案強化等、実用化支援の充実化を図った。

I. (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、② 研究不正防止の取組の推進、③ 研究データマネジメント、④ 実用化に向けた支援、⑤ 国際戦略の推進



⑤国際戦略の推進

第二期医療分野研究開発計画の成果最大化に向け、国際的なネットワーク基盤を効果的・効率的に活用し、連携強化すべき地域・国(米国、欧州主要国、アジア・アフリカ地域)や重点研究分野(感染症、がん・ゲノム・データサイエンス、認知症研究)等を定めた「AMED国際戦略」を策定・公表し、国際連携ネットワークの強化、国際共同研究の実施、トップサイエンティスト輩出のための人材育成等を戦略的に進めた。

• 日米連携の強化

- 菅-バイデン日米首脳会談「日米競争力・強靱性(コア)パートナーシップ」に基づく米国とのがん分野の協力及び感染症分野におけるNIHとの連携強化に向け、がんについてはNIHの国立がん研究所(NCI)との協力、感染症については国立アレルギー・感染症研究所(NIAID)との連携強化についての交渉を進めた。
- 医療分野の研究経験のある職員を副所長として派遣するなどワシントンDC事務所の体制強化を進め、NIH/NIAIDとの会合の定常化やNIH/NCIとのがん研究分野における連携交渉を円滑に開始できた。
- 日米医学協力計画で対象とするアジア地域にまん延する感染症研究における平時の研究協力に加えて、パンデミック等緊急時にも迅速に対応できる研究協力のあり方について議論に着手し、次年度以降にその成果を日米連携強化策として具体化する道筋をつけた。

• 重点分野としたデータサイエンス、認知症の国際共同研究事業を企画・推進するため、リトアニア及び北欧3カ国等とデータサイエンス及び健康長寿分野に係る国際共同研究を開始した。また、認知症研究を推進するため豪州NHMRCと連携し、ワークショップを実施した(令和4年度に国際共同研究の公募を開始する予定)。

• 国際的トップサイエンティスト輩出のための人材育成

- 全米医学アカデミーのHealthy Longevity Catalyst Awardに参加。既存AMED課題から登録済の44件中1件が、次段階である企業公募で採択された。研究成果を国際的な実用化につなげる仕組みを構築した。
- 米国ローレンス・リバモア研究所のデータ・サイエンス・サマー・インスティテュートに1名(定員30名)の参加枠を確保し、技術習得やトップ研究者とのネットワーク形成につながる若手人材の育成の成果を得た。
- 企業からの寄付金で運営する「創薬関連分野における研究者育成支援奨励事業」を円滑に活用し、5名の若手研究者の留学を支援した。

I. (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、② 研究不正防止の取組の推進、③ 研究データマネジメント、
④ 実用化に向けた支援、⑤ 国際戦略の推進



【評価指標】		令和3年度の達成状況	補足
1	研究・経営評議会の取組状況	2回開催し、今後の業務運営について意見等をいただいた。併せて、法人の外部評価を実施し、今後検討が望まれる課題等について外部評価報告書にとりまとめるとともに各担当部室において対応した。各会合の議事要旨等については、機構のHP上で公開している。	
2	プロジェクトマネジメントの取組状況	PDを中心に6つの統合プロジェクトをマネジメントする体制の下、各統合プロジェクトの推進・発展を図った。(PD全体会議を3回開催)	
3	アドバイザーボードの取組状況	令和4年2月22日に開催し、社会共創に関する取組の推進等について説明を行い、今後検討が望まれる機構へのニーズについて意見等をいただいた。当会合の議事要旨等については、機構のHP上で公開している。	
4	事業間の連携の進捗状況	事業間の連携の主な取組状況として、PD全体会議、個別PDPSCG会議等による事業間連携に関する意見交換の実施や、具体的な事業間連携事例の調査・まとめ・AMED内での共有化、AMS分析結果による研究動向の可視化を行い、事業間連携や推進等の端緒とした。	
5	各統合プロジェクト間の連携の進捗状況	PD全体会議や、疾患領域DCと関係PDPSとの意見交換会で、事業間の連携や進捗状況を説明し、PJ間・事業間の連携の推進等について議論した。PJ間の具体的な事例については、各PJ担当者から聞き取り資料としてまとめ、AMED内で参照し活用できるようにした。	
6	統合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	各統合プロジェクトにおいて、研究成果の情報共有や、研究成果の他研究への展開を図った。一例として、ゲノム・データ基盤プロジェクトでは、全事業の概要や研究成果等を情報共有し、異分野融合やプロジェクト間連携での成果創出に向けて、事業に関係する学会と連携した。また老化メカニズムの解明・制御プロジェクトでは、シーズ開発・研究基盤プロジェクトの革新的先端研究開発支援事業の「機能低下領域」に対し、老化マウスの提供や種々の老化関連解析技術支援を行うなど研究成果の他の研究への展開を図った。	
7	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	6NC理事長会合、国立研究開発法人協議会総会等の関係機関との会議に積極的に参加し、機関間連携、協力等を推進した。NIMSとの連携の一環としてセミナーを実施し、セミナー後に6件の相談を受けた。	
8	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	橋渡し研究支援拠点が令和3年度シーズAで支援している課題のうち、科研費の資金を利用して研究開発を行った課題は10拠点24件であった。	

I. (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、② 研究不正防止の取組の推進、③ 研究データマネジメント、
④ 実用化に向けた支援、⑤ 国際戦略の推進

【評価指標】	令和3年度の達成状況	補足
9 融合領域に関する他の資源配分機関との取組状況	JST研究開発戦略センターやNEDO技術戦略研究センターとライフサイエンス分野の研究開発の潮流・注目動向やコロナ禍後のイノベーション像に関する意見交換を行うとともに、AMEDが今後、融合・連携を推進すべき新たな研究トピックとその手法の調査の対象として、JST社会技術研究開発センター（RISTEX）の「SDGsの達成に向けた共創的研究開発プログラム」等からヒアリングを実施した。	
10 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	AMSに搭載されている研究課題のタグを活用し、令和2年度実施の全課題(2,815課題)を対象に、6統合プロジェクト及び7疾患領域に関連する課題や事業について分析し、プロジェクト間・事業間の連携や開発状況を表・グラフ等にまとめ、その結果をAMED内で展開・活用した。また、第二期の研究開発課題の分析結果についてはAMEDデータブックとしてHPで公開した。	
11 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	疾患領域に配置したDCの下、関連PDPSPPO等と連携しながら研究開発を推進した。また、疾患系事業等の運営に詳しい管理職を新たに疾患調査役に任命し、DCのサポートも含め、組織的な対応強化を図った。	
12 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	難治性疾患実用化研究事業については、厚生労働省難病対策課と日常的な情報交換も含めて密に連携し、対応を進めているほか、令和3年度からの公募では、厚生労働科学研究費補助金難治性疾患政策研究事業と連携することを前提として、具体的な連携内容について研究開発提案書に記載欄を設け、難病のニーズや現状把握を踏まえた研究開発に取り組むよう努めた。	
13 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	評価委員会設置数： 181 評価委員会 開催実績 265回	
14 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	適正・円滑な評価業務の実施のための「AMED課題評価等実施マニュアル」を改訂し、評価規則の逐条解釈的な内容だけでなく、評価業務のノウハウや事例等も盛り込むことなどにより、各部で実施される評価業務の標準化等を図った。 ・令和3年度AMEDレビューアによる査読を行った公募の数：11（8事業・プログラム、11領域） ・令和3年度査読を完了したレビューアの延べ人数：109名	
15 シンクタンク機能に関する取組状況	国内外の医療研究開発の資金提供機関の評価指標項目等に関する調査を実施した。また、SCARDA発足に先立ち、ワクチン研究開発に資する情報収集方法、情報共有方法、研究支援の手法について調査を実施した。	

I. (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、② 研究不正防止の取組の推進、③ 研究データマネジメント、
④ 実用化に向けた支援、⑤ 国際戦略の推進

【評価指標】		令和3年度の達成状況	補足
1	AMEDで実施されている研究の公正かつ適正な実施の確保に向けた取組状況	<ul style="list-style-type: none"> AMED課題に参画する研究開発代表者の利益相反管理状況報告書を公表するためのシステム構築を行い、令和3年度分の利益相反管理状況報告書からAMEDfindに公表する準備を進めた。 研究倫理教育履修の時期を、これまでの「研究実施期間中」から「研究開始前まで」に変更した。 	IT課と協力して、システム構築後に順次公表する予定
2	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	<ul style="list-style-type: none"> 研究倫理教育や研究不正の案件を取り扱う研究機関の職員向け講習会を行い、研究機関の職員の知識・能力向上のための取組を行った。 研究データ管理の質向上を目的とした指導者育成のため、ワークショップを7回開催し、人材の育成に取り組んだ。 	育成した人材の中から、継続して行う講習会の指導者を選抜している。

【評価指標】		令和3年度の達成状況	補足
1	研究データマネジメントの取組状況	<ul style="list-style-type: none"> AMSにおけるインシデント防止につながる改善や公開データの確認工程のオンライン化による作業効率化を図るとともに情報セキュリティリスクを低減した。 内外システムとの連携やe-Radデータの活用を向上させるための改修を開始した。 	
2	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	AMEDが支援した研究開発から得られたデータの2次利用を促進するため、スパコン連携の取組を含むAMEDデータ利活用プラットフォームの整備を進めた。	
3	他の統合プロジェクトへの展開の検討状況	(「学会連携&②医療機器・ヘルスケアプロジェクトとの連携」として④ゲノム・データ基盤プロジェクトに記載)	

【評価指標】		令和3年度の達成状況	補足
1	知的財産支援の実施状況	研究機関からのバイ・ドール報告受付数約2,366件、相談件数321件、知財調査30件等、知的財産の管理や戦略立案の支援を実施。	
2	研究機関の知財取得等件数 (目標値:年間20件)	222件	
3	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	AMED内に新たに設置したスタートアップ相談窓口、及び同窓口を通じたベンチャー企業からの相談対応等のインキュベーション機能を推進。マッチング機能の取組として、他機関との商談会共催を含む国内外商談会への出展支援等の企業とのマッチング支援を約110課題について実施。	

I. (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、② 研究不正防止の取組の推進、③ 研究データマネジメント、
④ 実用化に向けた支援、⑤ 国際戦略の推進

【評価指標】		令和3年度の達成状況	補足
4	企業とのマッチング成立件数 (目標値:年間58件)	107件	
5	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	令和2年度の調査を基に、実用化に向けた課題である連携体制の早期構築を図るべく、研究課題に対するビジネス観点からの助言や国内外の連携先候補の提案強化等の支援の充実化を実施。	

【評価指標】		令和3年度の達成状況	補足
1	国際戦略の検討状況	第二期はこれまで形成した国際ネットワークを活用し、国内研究開発の強化のため米、欧州との連携を強化し、途上国は科学技術・保健外交と位置づけ、また、感染症、がん、脳神経(認知症)等を重点研究分野とした「AMED国際戦略」を策定した。強力に推進する戦略を打ち出した。これらに基づき特に米国との連携強化を進めている。	
2	諸外国との関係構築への取組状況	米国医学アカデミーのHealthy Longevity Catalyst Awardに参加。第1段階にAMED事業の若手研究者の課題44件を登録し1件が第2段階の企業からの研究費獲得につながった。国際連携で研究成果の実用化につなげる仕組みの構築ができた。データサイエンティストを育成のため、米国ローレンス・リバモア国立研究所のデータ・サイエンス・サマー・インスティテュートに1名の参加枠を定常的に確保し、AMED事業の修士研究者を参加させた。最先端の技術習得やトップ研究者とのネットワークを形成した。認知症研究を推進するため豪州NHMRCとワークショップを実施し、豪州のイメージング研究用の認知症コホートの蓄積と日本の強いプローブ技術や病理診断データが付属する検体を組み合わせが効果的であることを確認し、令和4年度国際共同研究の公募につなげた。また、米国、カナダ、スペイン、英国、ノルウェー、EUとの科技合同委員会等の場を活用し、将来構想について理解を深めた。ノルウェーについては令和3年度新規SICORP北欧につながった。	
3	グローバルなデータシェアリングへの取組状況	データシェアリングについては、医療データを活用するデータサイエンスを推進するため、質の高い健康・医療データ・バイオリソースを保有し、国際共同研究の実施が可能な協力相手機関として、リトアニア共和国保健省、北欧3カ国のNordForsk及び研究資金配分機関と基本合意書への署名を行い、それぞれ、臨床データ・バイオリソース及び健康長寿分野でのデータサイエンスに係る国際共同研究事業を開始した。	
4	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	日米連携の強化のため、ワシントンDC事務所の体制を強化した。医学研究の専門性を有するAMED職員を副所長として追加派遣するとともに、米国保健省(HHS)に派遣された厚生労働省職員との緊密な連携体制を構築するなど体制強化を進めている。その結果、NIH/NIAIDとの会合の定常化やNIH/NCIとのがん研究分野における連携交渉の円滑な着手ができた。引き続き、体制の充実を図っている。	

I. (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



- ①医薬品プロジェクト、②医療機器・ヘルスケアプロジェクト、③再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト、
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、⑥シーズ開発・研究基盤プロジェクト

評 定	評価単位（I. (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）における項目別の自己評価は以下のとおりであり、本評価単位として、下記（※）に基づき、A評価とする。
自己評価	
A	

（※）第2期中長期目標期間における国立研究開発法人日本医療研究開発機構の業務実績に関する評価要領に基づく自己評価ランク

第2期中長期目標_項目		自己評価	右記に基づく点数	（※）評価要領抜粋
I. (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		A	3.3	(1) 点数化 項目別評定結果を次のとおり点数化する。 s:4、a:3、b:2、c:1、d:0 (2) 平均値の算出 (1)による評価単位の点数を平均し、上位の項目の点数を算出する。 (3) ランク付け (2)で算出した点数を次のとおりランク付けし、ランクに対応する評定を主務大臣評価とする。 3.5以上 :S 2.5以上3.5未満:A 1.5以上2.5未満:B 0.5以上1.5未満:C 0.5未満 :D
項目別評定	① 医薬品プロジェクト	s	4	
	② 医療機器・ヘルスケアプロジェクト	a	3	
	③ 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト	a	3	
	④ ゲノム・データ基盤プロジェクト	a	3	
	⑤ 疾患基礎研究プロジェクト	s	4	
	⑥ シーズ開発・研究基盤プロジェクト	a	3	

I. (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

① 医薬品プロジェクト



評 定	医薬品研究開発の更なる推進に向けて、アカデミアシーズの早期実用化に向けた産学連携の新たな仕組みの構築や疾患横断的あるいは新規モダリティの研究開発を拡充・推進した。
自己評価 S	① 創薬プロセスの加速化、企業導出の更なる促進のための新たな仕組みを構築するとともに、企業導出や薬事承認において数多くの成果が認められた。 ② 「基盤技術」の疾患横断的な「シーズ開発」への応用による研究開発推進の取組を拡充した。 ③ 患者・産業界・規制当局等、多様なステークホルダーと共同の新規モダリティ開発を推進した。 以上より、全体として特に顕著な成果の創出や取組が認められる。

① 創薬プロセスの加速化、企業導出の更なる促進のための新たな仕組みを構築するとともに、企業導出や薬事承認において数多くの成果が認められた。

- AMED支援課題の早期実用化に向けて、製薬企業16社、27名の企業有識者が参画し、アカデミア発の有望シーズの創薬プロセスのガイド役を担う「AMEDアカデミア医薬品シーズ開発推進会議(AMED-FLuX)」を創設。今年度は9課題について意見交換し、うち4課題への研究費の追加措置等、企業の実用化目線での知見を積極的に取り込み、研究開発を推進した。
- 事業間連携での切れ目ない支援に向けて、創薬ブースターの支援シーズについて、導入(希望)企業に希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業への応募機会を常時提供し、迅速かつ効率的な実用化を可能とした。
- 新規モダリティ研究開発や伴走支援を積極的に推進し、新有効成分医薬品を含む単年度目標の8倍ほどの薬事承認や約3~4倍に相当する企業導出が認められた。

◆ アカデミア医薬品シーズ開発推進会議(AMED-FLuX)の概要

～AMED支援課題の早期実用化に向けた創薬プロセスの適正化と加速を目指して～

<取組のポイント>

- アカデミアと企業のシーズに関する捉え方に未だギャップが存在
- アカデミア創薬に産業界の意見を取り込み実用化への道のりをより明確化

AMED・医薬品PJ
支援課題開発早期
の具体的なシーズ

AMED-FLuX

- アカデミア研究者と企業有識者が自由にディスカッションできる場
- 有望なシーズを見出す目利き機能を果たし、進むべき創薬プロセスをガイドする役割
- 意見交換の内容：
 - 医療ニーズと目指す製品のコンセプトを踏まえ、実用化の観点から有望なシーズと判断するために求められることはどのようなものが
 - 次に実施すべき研究開発項目は何か
 - 基礎とする研究開発技術に係る他疾患領域への応用可能性

● 成果の活用：

- アカデミア研究者及びAMEDは、個別シーズ開発の推進に活用
- 総論として実用化に向けた課題が抽出された場合、PSPO等と共有し、医薬品PJ全体の課題管理・運営にも活用

※取組状況詳細：AMED Pickup (2022年1月号)
<https://www.amed.go.jp/content/000092016.pdf>

アカデミアの研究成果を
最速段階で
患者さんの元へ

◆ 薬事承認事例(革新的がん医療実用化研究事業)

代表的な小児がんである神経芽腫に対してジヌツキシマブが承認
- 小児がん用抗がん剤で初めての医師主導治験による国内承認取得 -
世界で初めて、神経芽腫に特化して開発された遺伝子組換えキメラモノクローナル抗体で、わが国において数十年ぶりに神経芽腫に対して承認
研究代表者：原 純一(大阪市立総合医療センター)

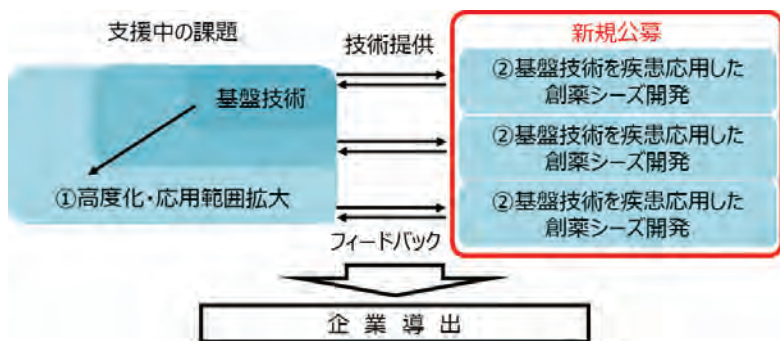
I. (2) 基礎研究から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

① 医薬品プロジェクト

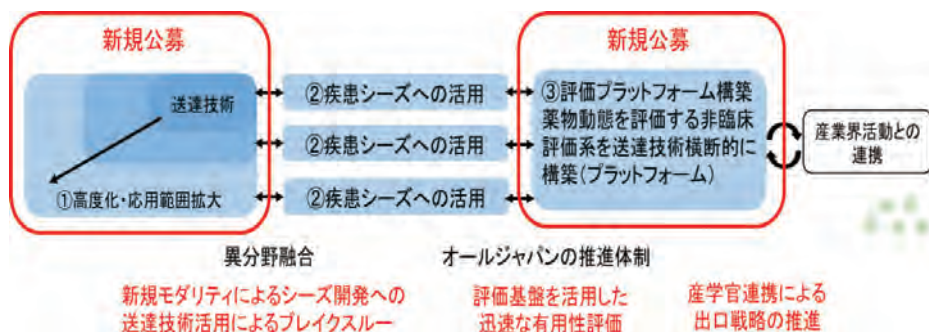
② 「基盤技術」の疾患横断的な「シーズ開発」への応用による研究開発推進の取組を拡充した。

- 全ての疾患領域事業が公募周知・課題評価等に協力し、先端バイオ基盤技術をプラットフォームとして、疾患横断的にシーズ開発に応用する研究開発を15課題採択し、基盤技術の高度化・応用範囲拡大とシーズ開発のブレイクスルーを一挙に実現する取組を推進した。また、昨年度により実施しているAMED採択課題の連携推進により、1件の企業導出を達成するなど、すでに成果が出始めている。
- 産業界の提言も踏まえ、核酸医薬品、中分子医薬品等の新規モダリティ開発において重要性が増している送達技術について、到達性を評価しつつ最適な送達技術をシーズ開発にオンデマンドに応用する研究体制を構築し支援を開始した(13課題採択)。

◆ 要素技術開発のシーズ開発への応用展開による基盤技術の高度化



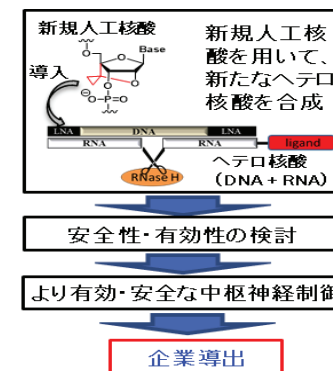
◆ 各種疾患のシーズ開発に対してオンデマンドに応用展開による送達技術の高度化



基盤技術	研究代表者	追加課題対象疾患
安全な遺伝子治療を目指した万能塩基編集ツールの創出	濡木理	血液障害、心疾患、神経疾患
遺伝性難治疾患治療のための超高精度遺伝子修正法の確立	中田慎一郎	神経筋疾患、血液障害、皮膚疾患
デリバリーと安全性を融合した新世代核酸医薬プラットフォームの構築	小比賀聡	神経疾患、肝疾患、がん、白血病
核酸医薬への応用を目指した非環状型人工核酸の開発	浅沼浩之	神経疾患、がん
難治性がんを標的とした先端的がん特異的抗体創製基盤技術開発とその医療応用	加藤幸成	がん

採択課題の連携推進による具体例 - 中枢移行性ヘテロ核酸の開発 -

- 神経難病の治療に応用可能な中枢移行性の高いヘテロ核酸について、事業内連携により、安全性や安定性に優れた新規人工核酸を導入した新たなヘテロ核酸を合成し、安全性・有効性を検討。
- 新規人工核酸の導入により、ヘテロ核酸の毒性が低減されることを発見。
- 当該結果に基づき、製薬企業による神経難病の治療に対する新しい核酸医薬品の創製に向けた研究を開始。



事業名: 先端的バイオ創薬等基盤技術開発事業
 研究代表機関: 国立大学法人東京医科歯科大学
 研究期間: 令和1年10月～令和6年3月

I. (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

① 医薬品プロジェクト



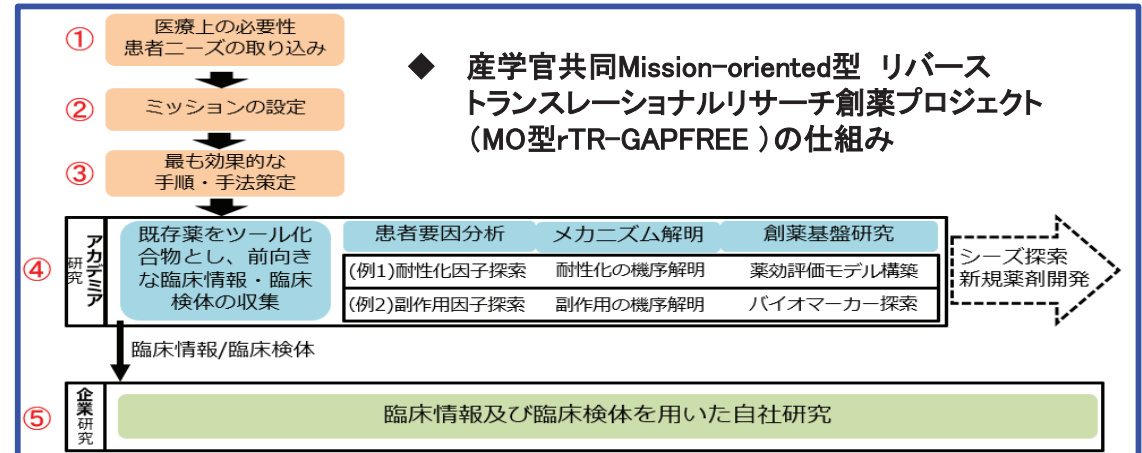
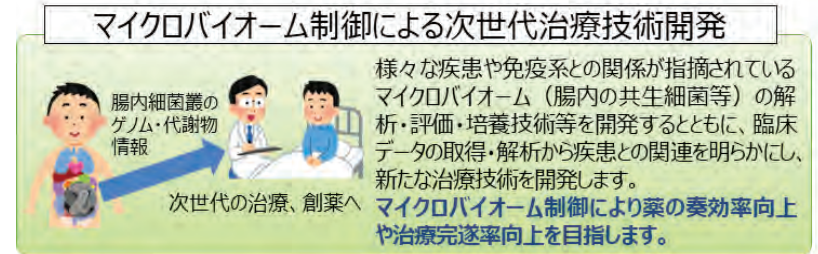
③ 患者、産業界、規制当局など多様なステークホルダーと共同し、新規モダリティ開発等を推進した。

腸内マイクロバイオー姆創薬やRNA標的創薬、次世代抗体等について、PMDAと情報交換しつつ適切な公募内容を設計し、レギュラトリーサイエンスや産業界活動と一体となった製造品質管理技術基盤の研究推進体制を構築した。

リバーストランスレーショナルリサーチを活用した産学官共同研究開発プロジェクト(GAPFREE)において、患者参画(PPI)の新たな仕組みを設け、患者の意見をより積極的に踏まえた課題評価を実施し、患者ニーズを踏まえたミッション達成に向けて、効果的に研究開発を推進した。

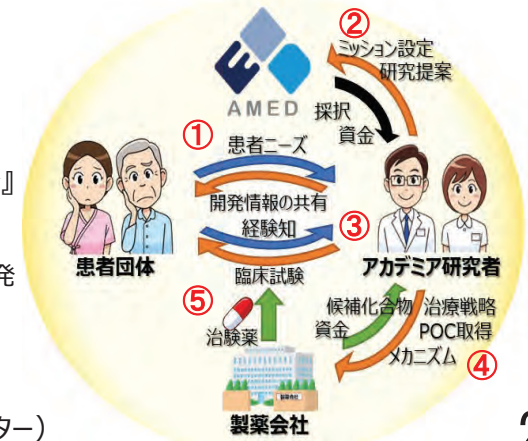
ペプチドや核酸医薬等の新しいモダリティの品質・安全性評価法の開発やリアルワールドデータの利活用等に関する最新情報を収集し、革新的な医薬品、医療機器、再生医療等製品に関するレギュラトリーサイエンス研究を推進した。

◆ 創薬基盤推進研究事業 MO型rTR-GAPFREEの具体例



- 患者ニーズの取り込み： 患者2団体からの意見書(※)
- ※ 「肉腫は他のがん種と比べて承認された治療薬が少なく、とりわけ分子標的薬の開発が遅れていることから、有効な新薬を渴望する。」
- ミッションの設定： 『肉腫領域におけるアンメットニーズを充足する新規治療薬の開発』
- 最も効果的な手段・手法策定：
 - ・ シーズ化合物： 抗がん効果のPOC取得とより安全で効果的なプロドラッグの開発
 - ・ 患者参加型の学会を通じて開発状況を共有
 - ・ 患者の経験知を反映させた開発方針策定・治験プロトコル作成

研究代表者： 旦 慎吾(公益財団法人がん研究会がん化学療法センター)



I. (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



① 医薬品プロジェクト

【評価指標】		①令和2年度～3年度末迄の 累積達成状況	進捗	② ①のうち、令和3年度の 達成状況	
アウトプット	1	非臨床POCの取得 25件(5件/年)	81件	○	36件
	2	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 10件(2件/年)	5件	○	2件
	3	臨床POCの取得 5件(1件/年)	23件	○	12件
	4	新モダリティ・先進手法に関する採択課題の割合 75%	81.1%	○	81.1%
	5	創薬支援ネットワークの活動状況 -3独法(理研・基盤研・産総研)による支援	12件	○	8件 (R2年度からの継続含む)
	6	創薬支援ネットワークの活動状況 -支援継続/終了の状況	支援を行った課題:91件 うち 新規採択:50件 うち ステージアップ:17件 うち 支援継続:43件 うち支援終了の課題:48件	○	支援を行った課題:68件 うち 新規採択:24件 うち ステージアップ:5件 うち 支援継続:43件 うち 支援終了の課題:25件
	7	創薬等の効率化に資する 先進手法の開発状況	110課題以上を採択	○	今年度60課題以上を新たに採択

【評価指標】		①令和2年度～3年度末迄の 累積達成状況	進捗	② ①のうち、令和3年度の 達成状況	
アウトカム	8	シーズの企業への導出 60件(12件/年)	87件	○	47件
	9	薬事承認(新薬、適応拡大) 10件(2件/年)	20件	○	15件
	10	創薬等の効率化に資する先進手法の企業 導出 120件(24件/年)	164件	○	69件
	11	研究成果を活用した臨床試験・治験への 移行状況	22件(参考)	○	8件(参考)

進捗: ○ : 順調に進捗している、△ : 進捗が不十分、- : 現時点で評価が困難

I. (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

② 医療機器・ヘルスケアプロジェクト



評 定	① <u>令和2年度に頂いた評価に対応すべく、主務官庁との日常的な連携の強化に基づく政策目的を踏まえた機動的な研究開発課題の進捗管理を実施した。</u>
自己評価 a	② <u>PDの目利きとこれまで培ってきた医療機器開発に係る伴走支援の仕組みを踏まえ、基礎から実用化への導出を更に推進する研究開発マネジメント支援の仕組みを整備した。</u> ③ <u>主務官庁と共同で、ヘルスケア産業創出に向けてサービスの信頼性確保を通じた社会実装に係る令和4年度からの本格的な支援実施に向けて、学会関係者等との意見交換や先進的に取り組むべき分野の選定などを実施した。</u> 以上より、全体として顕著な成果の創出や取組が認められる。

① 主務官庁との日常的な連携強化に基づく研究開発課題の進捗管理

- 各事業の運営に政策目的がしっかり反映されるよう、主務官庁との緊密な打ち合わせ等を実施。
- 例えば、公募や中間評価、事後評価、そしてサイトビジットなどについてはスケジュールリングも含め準備の初期段階から連携することにより、これらにおける主務官庁の出席確保の確実性を高めた。
- そして、当該環境の中で、主務官庁の要請に応えながらステージゲートを設定・実施※することができた。
- このように主務官庁との日常的な連携の中で共通認識の醸成を図りながら研究開発課題の進捗管理を実施したことにより、必要な取組の修正等をタイムリーに行うことが可能となり政策目的に沿った研究開発成果の最大化に繋げる取組を実施することができた。

＜令和2年度の業務実績に係る主務大臣評価(抄)＞

- 各事業において、ステージゲートの設定・実施による実施課題に対する継続審査や中間評価等を主務官庁と早期に連絡を取って出席を確保する等して実施するとともに、早期公募や執行の改善等を主務官庁と連絡を取って実施し、引き続き課題の進捗を適切に管理することが求められる。
- 事業進捗や課題の把握に必要な場合は、引き続きサイトビジットの着実な実施が求められる。

I. (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

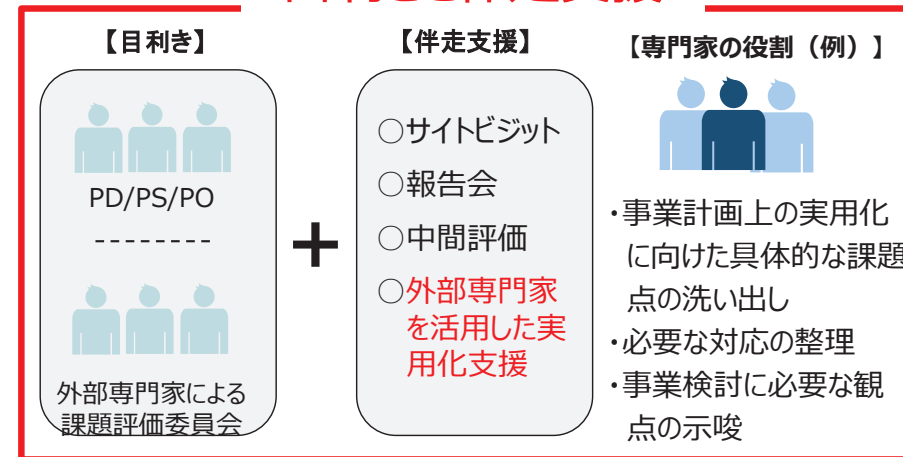
② 医療機器・ヘルスケアプロジェクト



② 培ってきた医療機器開発に係る伴走支援の仕組みとAMEDの目利きを活用した基礎から実用化への導出を更に推進する研究開発マネジメント支援の仕組みの整備

- 「医工連携イノベーション推進事業」で培われ実用化の実績を上げている伴走支援の手法(PD等が研究開発課題の進捗管理等を行う中で当該課題が置かれた状況に応じた事業計画上の課題点の洗い出しなどについて専門家の知見を活用)を他事業でも活用できるよう仕組みとして整備した。
- これにより、今後、研究開発成果の次の研究開発フェーズの事業への導出がより見据えられるため、事業間連携の円滑化、それに伴う研究開発成果の実用化の実績向上が期待される。
- 加えて、AMEDの目利きを活用して、公募応募課題のうち当該仕組みの活用が求められる課題について案内を行う仕組みも整備した。これにより、今後、公募申請時の実用化に係る提案力の強化が期待される。

目利きと伴走支援



<令和2年度の業務実績に係る主務大臣評価(抄)>

プロジェクト内の事業間連携をより一層強化し、基礎から実用化への導出を更に推進することが求められる。

③ヘルスケア産業創出に向けてサービスの信頼性確保を通じた社会実装の促進

- 生活習慣病等の診療ガイドラインを策定する関連学会によって行われる指針等の作成に対する支援や、関連学会とサービスを開発する事業者等による連携の支援の令和4年度からの本格的な実施に向けて、本年度は、業務体制の整備、学会関係者等との意見交換、先進的に取り組むべき分野の選定などを主務官庁と共同で実施した。



予防・健康づくり領域の社会実装
に向けたシンポジウム(R4.3.17) 23

- シンポジウムを開催し令和4年度の事業開始の機運を高めた。

I. (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

② 医療機器・ヘルスケアプロジェクト



【評価指標】		①令和2年度～3年度末迄の累積達成状況	進捗	②①のうち、令和3年度の達成状況
アウトプット	1 ○シーズ研究に関する指標 ・非臨床POCの取得件数 25件	39	○	16
	2 ○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%	28%	○	48%
	3 ○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	15	○	5

【評価指標】		①令和3年度末迄の累積達成状況	進捗	②①のうち、令和3年度の達成状況
アウトカム	4 ○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	9	○	3
	5 ○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	3	△	1
	6 ○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	5	○	4
	7 ○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	44	○	21

進捗：○. 順調に進捗している △. 進捗が不十分 - . 現時点で評価が困難

I. (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

③再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト



評 定	再生・細胞医療・遺伝子治療開発協議会(以下、協議会)、文部科学省再生・細胞医療・遺伝子治療研究の在り方に係る検討会(以下、検討会)等に積極的に関与し、再生医療実現拠点ネットワークプログラム(以下、NWP)の事業を含む令和5年度以降の再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト全般の事業が有機的に連携するように設計を進め、先行して令和4年度事業の枠組みを整えた。
自己評価 a	<p>①再生・細胞医療と遺伝子治療に関する事業の連携を強化した設計を行い、公募した。</p> <p>②再生・細胞医療技術を活用した創薬支援技術において、公募と課題推進を刷新した。</p> <p>③遺伝子治療の研究開発を加速し、裾野拡大を目指した臨床応用に取り組んだ。</p> <p>以上より、全体として顕著な成果の創出や取組が認められる。</p>

①再生・細胞医療と遺伝子治療に関する事業の連携を強化した事業設計

- 協議会、検討会等において、令和4年度に終了するNWPの令和5年度以降の事業について、関係府省の政策検討に向けた新たな提案、及びこれまでの成果の報告等を実施した。検討会での議論を踏まえ、事業の骨格となる「再生・細胞医療・遺伝子治療研究開発課題(基礎応用研究課題、非臨床PoC取得研究課題)」について令和4年度の先行事業として設計し、公募した。当該課題の新たな点は、遺伝子治療(in vivo遺伝子治療を含む)の基礎研究の強化、再生医療実用化研究事業への移行をよりシームレスとする「非臨床PoC取得枠」の設定にある。また、拠点等間の連携を促す「チーム型」の新設や「若手枠」の継続等、課題間の連携や研究者育成を推進するものとした。
- 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(以下、産業化事業)において、再生医療研究開発課及び遺伝子治療研究開発課の共同運営を強化した。具体的には、昨年度仕様を決定した再生・細胞医療と遺伝子治療(in vivo遺伝子治療を含む)の両者を推進して再生医療等製品の産業化を促進させるベンチャー企業等支援を行う「再生・細胞医療・遺伝子治療産業化促進事業」を共同で公募し、運営した。また、再生・細胞医療・遺伝子治療分野の将来を見据えた重要技術に係る調査を共同で実施した。

I. (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

③再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト



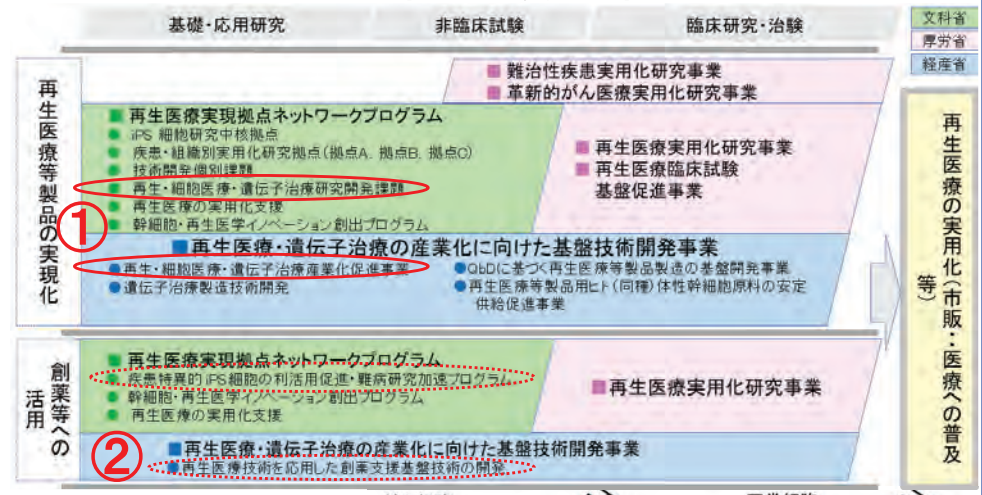
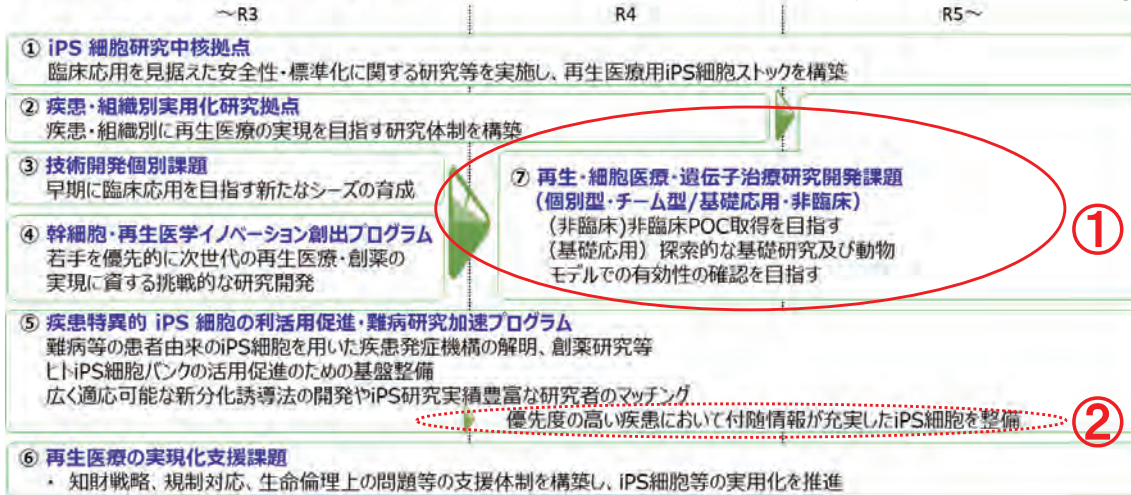
②再生・細胞医療技術を活用した創薬支援技術における公募と課題推進の刷新

- NWPの「疾患特異的iPS細胞の利活用促進・難病研究加速プログラム」では製薬企業にアンケート／ヒアリングを実施することで要望を把握してプログラムを設計した。文科省と連携して検討会に提案するとともに、令和4年度の新プログラム（指定難病の対象を増やす「難病等疾患特異的iPS細胞の樹立・バンク拡充課題」及び特定の疾患（群）の症例数や付随情報等の充実させる「疾患付随情報充実バンク課題」）の仕組みを整備した。また、既採択課題としては、iPS細胞研究者と疾患研究者の連携強化に向けた「研究者マッチング・共同研究促進課題」において研究者から提案を受ける新たな取組を開始し、11件の共同研究を進めた。
- 産業化事業では「再生医療技術を応用した創薬支援基盤技術の開発」の後継の枠組みを整えて、公募した。

再生医療実現拠点ネットワークプログラム

図1 令和5年度に向けたNWPの構想

図2 令和4年度事業体制



③遺伝子治療研究開発の加速と臨床応用への取組

- 「革新的がん医療実用化研究事業」及び産業化事業「遺伝子治療製造技術開発」では、両事業が連携して支援した腫瘍溶解性ウイルスを用いた日本発の遺伝子治療製品が承認された。

④評価指標の達成に向けて顕著な進捗が見られる

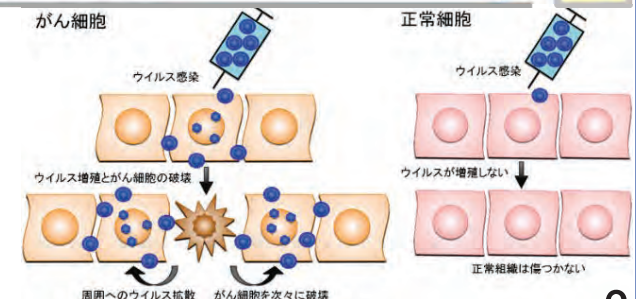


図3 ウィルスによるがん治療の仕組み

I. (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

③ 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト



【評価指標】		①令和2年度～3年度末迄の累積達成状況	進捗	②①のうち、令和3年度の達成状況	
アウトプット	1	非臨床POCの取得 25件(うち遺伝子治療 5件)	25件(23件)	○	11件(10件)
	2	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	244件	○	137件
	3	治験に移行した研究課題数 20件、関連課題数(うち遺伝子治療 2件、関連課題数)	18件、25課題(9件、11課題)	○	7件、11課題(3件、3課題)
	4	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	326件	○	126件
	5	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)	8件(1件)	○	4件(1件)

【評価指標】		①令和2年度～3年度末迄の累積達成状況	進捗	②①のうち、令和3年度の達成状況	
アウトカム	6	シーズの他事業への導出件数 30件	14件	○	5件
	7	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)	12件(7件)(企業へ導出された件数 7件)	○	3件(2件)(企業へ導出された件数 1件)
	8	薬事承認件数(新薬、適応拡大) 2件以上	3件(先進医療B1件、医療機器1件)	○	2件(医療機器1件)
	9	関連する国際的なガイドライン等策定への参画状況	4件	○	ISO/TC 276/WG 3においてISO 23033が発行。ISO/TC 198/WG 9において、「ヘルスケア製品の無菌操作法-アイソレータシステム」の国際規格が発行。
	10	研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況	—	○	治験移行7件、臨床研究移行4件に加え、治験第2相へ移行1件、臨床研究でのFIH1件、臨床研究の委員会対応中1件、臨床研究終了し、新臨床研究準備中1件、臨床研究機関延長1件
	11	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	—	○	ベクター作製、大量製造、精製、製品評価等の38件の製造関連要素技術開発が進展。