

令和5年度及び 第2期中長期目標期間の終了時に見込まれる 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5年度および見込の自己評価(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	27
① 医薬品プロジェクト	28
② 医療機器・ヘルスケアプロジェクト	35
③ 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト	41
④ ゲノム・データ基盤プロジェクト	47
⑤ 疾患基礎研究プロジェクト	53
⑥ シーズ開発・研究基盤プロジェクト	59

目次

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	
(3) 基金等を活用した中長期的な研究開発の促進等	60
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	61
② 健康・医療分野におけるムーンショット型研究開発等	68
③ 新型コロナウイルスワクチンの開発支援	74
④ ワクチン・新規モダリティの研究開発	79
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	85
⑥ 創薬ベンチャーエコシステムの強化	89
⑦ 大学発医療系スタートアップの支援	95
⑧ 先端国際共同研究の推進	98
(4) 疾患領域に関連した研究開発	102
II. 業務運営の効率化に関する事項	109
III. 財務内容の改善に関する事項	116
IV. その他業務運営に関する事項	120

令和5年度および見込の自己評価(概要)



中長期目標等の項目		令和5年度	見込評価
		仮評定	仮評定
I. (1) AMEDI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	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	A
	①医薬品プロジェクト	s	s
	②医療機器ヘルスケアプロジェクト	a	a
	③再生細胞医療遺伝子治療プロジェクト	a	a
	④ゲノムデータ基盤プロジェクト	a	a
	⑤疾患基礎研究プロジェクト	a	a
	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	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	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	a
	③新型コロナウイルスワクチンの開発支援	a	a
	④ワクチン・新規モダリティの研究開発	a	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	a
	⑥創薬ベンチャーエコシステムの強化	a	a
	⑦大学発医療系スタートアップの支援	a	a
	⑧先端国際共同研究の推進	a	a
I. (4) 疾患領域に関連した研究開発	—	A	A
II. 業務運営の効率化に関する事項	—	A	A
III. 財務内容の改善に関する事項	—	B	B
IV. その他業務運営に関する事項	—	B	B

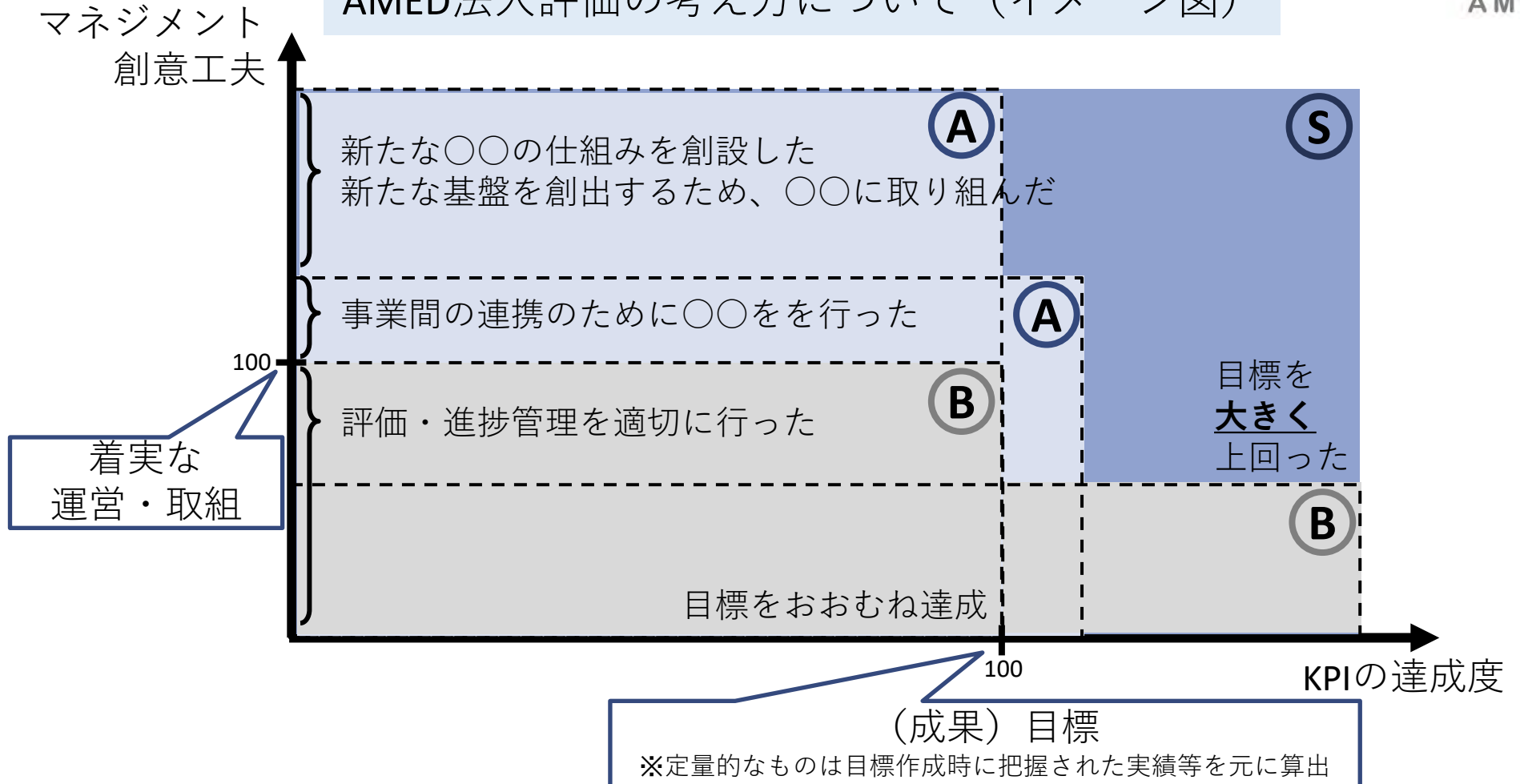
- 令和5年度法人評価は、AMEDの第2期中長期計画期間における4年度目および中長期目標期間終了時の見込の評価
- 自己評価にあたっては、中長期計画及び年度計画に基づいてモダリティをベースとしたプロジェクトを推進することにより、研究機関による顕著な成果創出状況等を確認することに加え
 - ✓ 基礎から実用化までの一貫した研究開発の推進と成果の実用化を図ったか
 - ✓ 新たな医療技術等を様々な疾患に効果的に展開したか
 - ✓ 疾患領域に関連した研究開発はプロジェクト間の連携により柔軟にマネジメントしたか

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

AMEDの法人評価における考え方(2)



AMED法人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. (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	R5評価		見込評価		（※）評価要領抜粋
	自己評価	点数	自己評価	点数	
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	3.2	A	3.2	(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
① 医薬品プロジェクト	s	4	s	4	
② 医療機器・ヘルスケアプロジェクト	a	3	a	3	
③ 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト	a	3	a	3	
④ ゲノム・データ基盤プロジェクト	a	3	a	3	
⑤ 疾患基礎研究プロジェクト	a	3	a	3	
⑥ シーズ開発・研究基盤プロジェクト	a	3	a	3	

項目別評定

I. (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、②健康・医療分野におけるムーンショット型研究開発等、③新型コロナウイルスワクチンの開発支援、④ワクチン・新規モダリティの研究開発、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、⑥創薬ベンチャーエコシステムの強化、⑦大学発医療系スタートアップの支援、⑧先端国際共同研究の推進

評 定	評価単位（I. (3) 基金等を活用した中長期的な研究開発の促進等）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		R5評価		見込評価		（※）評価要領抜粋
		自己評価	点数	自己評価	点数	
I. (3) 基金等を活用した中長期的な研究開発の促進等		A	3.0	A	3.0	(1) 点数化 項目別評価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価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 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	a	3	a	3	
	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	a	3	
	③ 新型コロナウイルスワクチンの開発支援	a	3	a	3	
	④ ワクチン・新規モダリティの研究開発	a	3	a	3	
	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	3	a	3	
	⑥ 創薬ベンチャーエコシステムの強化	a	3	a	3	
	⑦ 大学発医療系スタートアップの支援	a	3	a	3	
	⑧ 先端国際共同研究の推進	a	3	a	3	

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

R5 年度評価	<p>機構の年度計画で定める研究開発の成果の最大化等の目標達成のため、以下の取組を実施した。</p> <ul style="list-style-type: none"> ① PD 全体会議における意見交換を通じて第2期の振り返り及び第3期に向けた課題をまとめた。 ② 研究公正シンポジウムをAMED主催により開催(JST、JSPS、NEDO、BRAIN共催)し、ナレッジシェアリングを実施して研究不正防止や研究公正推進を促進した。 ③ AMSデータを活用したがん疾患領域のマネージメントやサルコペニア・フレイルシンポジウム領域における事業間連携、新システム(A-POST)の実運用を開始し、業務効率及びデータ品質向上を図った。 ④ 知財・実用化支援の有効性検証等を行い、支援相談者の7割以上が有効であると回答していた。 ⑤ 日英協調体制の構築に向けた活動、研究者派遣による日米連携を通じて国際連携を推進した。 <p>加えて、調整費の機動的な性質を活かした複数年度に渡る新しい取組、支援終了後の成果把握のための追跡調査手法等の調査を実施する等、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。</p>
評 定	
自己評価 A	

見込評価	<p>機構の中長期計画で定める研究開発の成果の最大化等の目標達成のため、以下の取組を実施した。</p> <ul style="list-style-type: none"> ① PDやDCとの意見交換を通じて統合プロジェクト間連携を推進した。 ② 「研究公正に関するヒヤリ・ハット集」第2版では21事例2コラムを追加した。 ③ 「研究開発データの取扱いに関する基本方針」を全研究開発課題に拡充、人に関する研究開発に対しては「AMED説明文書用モデル文案」を適用した。 ④ 国内外の商談会参加支援等を実施し、企業とのマッチング成立に貢献した。 ⑤ 理事長によるトップ広報活動やNIH/NIAID担当者間の実務者会議を実施した <p>加えて、調整費を活用した事業間連携・課題間連携・分野間連携を強化、社会共創を推進する部署を設置、社会共創やダイバーシティに係る取組方針を策定する等、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。</p>	R2	R3	R4	R5	
評 定		自己評価	A	A	A	A
自己評価 A		主務大臣評価	A	A	A	8

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



R5年度評価＋見込評価

※中長期計画期間としての主要事項: 青字、令和5年度実績: 下線付き、主要事項かつ令和5年度実績: 青字下線

① -1医療に関する研究開発マネジメント

第36回健康・医療戦略推進専門調査会資料

・PDDC との意見交換を通じたプロジェクト間連携促進

- 第2期のモダリティを軸とした統合プロジェクト間の連携を促進するため、PD全員が参加する統合プロジェクト連携推進会議(PD全体会議)を令和2年度に立ち上げ、令和5年度までに計10回開催して、AMEDの運営の現状や課題、国際連携活動、AMSの分析結果による事業間連携の方策、AMEDの戦略機能向上、調整費の活用等を議論した。

- 令和4年度から5年度にかけてのPD全体会議では、DCも交えて第2期の成果や第3期に向けた課題を取りまとめ、第36回健康・医療戦略推進専門調査会(令和5年11月15日開催)において第3期医療分野研究開発推進計画に向けた検討課題として理事長から提示した。

・新たな創薬モダリティに対する課題の検討

- 新たな創薬モダリティとしてバイオ医薬品の開発が世界的な潮流となっているなかで、データ分析からAMEDにおけるバイオ医薬品の研究開発が決して十分ではないという課題を見出した。この課題解決に向けてPD全体会議での議論や外部講師による勉強会、開発フローにおける現状と課題の委託調査を実施し、第3期医療分野研究開発推進計画の検討課題に活用した。

第3期医療分野研究開発推進計画に向けた検討課題



新たな創薬モダリティの研究開発

創薬力の強化は、我が国の医療研究開発上における喫緊の課題。特に、細胞医療や遺伝子治療等に関わる再生医療等製品については、新規創薬モダリティにおける創薬プロセスの多様化や、実用化までに関わるステークホルダーの多様性を踏まえ、早期段階から開発ステージごとの伴走支援や創薬技術の展開等の取組強化が必要。

臨床研究の更なる充実

臨床研究として進めるシーズの応用研究をさらに実用化(薬事承認)の方向に向けるために、治験薬製造施設等の整備を含めた治験実施拠点の機能強化等による橋渡し研究支援機関・臨床研究中核病院、臨床研究・治験ネットワークのさらなる活性化、ひいては、国際共同治験体制の整備が必要。

データの利活用方策

先進諸国に比して医療情報の電子化と共有に遅れがみられる我が国で、その推進が図られている中、例えば、ゲノム・データ基盤PJで整備したデータをプログラム医療機器で利活用するなど、全ての研究開発において、疾病の診断、治療、予防のためにデータを利活用する研究開発の加速が不可欠。

基礎研究の強化の在り方

基礎研究は、革新的な医薬品、医療機器等の創出につながる優れた研究成果を生み出す源泉。脳科学研究や認知症研究と数理科学・情報科学との異分野連携をはじめとして、疾患特異的な基礎研究と疾患横断的な基礎研究の連携など、イノベーション創出への蓋然性を高める成果の創出促進が重要。

将来起こり得る新たな感染症パンデミックに対する対応

現時点では、政府においてワクチンに関する戦略(ワクチン開発・生産体制強化戦略)のみが策定されており、この戦略に基づいて、SCARDAIはワクチンの研究開発に取り組んでいるところ、治療薬・診断薬・基礎研究は主に医薬品PJと疾患基礎研究PJに分散しており、感染症への対応においては、国立健康危機管理研究機構等の連携も考慮しつつ、集約的な政策の下での取組が必要。

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



R5年度評価＋見込評価

※中長期計画期間としての主要事項: 青字、令和5年度実績: 下線付き、主要事項かつ令和5年度実績: 青字下線

① 医療に関する研究開発マネジメント

・調整費を活用した事業間連携・課題間連携・分野間連携の強化

- 理事長の重要方針として「事業間連携・課題間連携・分野間連携の強化」を重点的に支援(累計 144 課題・116 億円)することとし、異なる研究領域間における相乗効果を創出した。
- 調整費の機動的な性質を活かした複数年度に渡る新しい取組として、異業種・異分野が連携したゲノム研究を創薬等出口に繋げる研究開発を加速した。

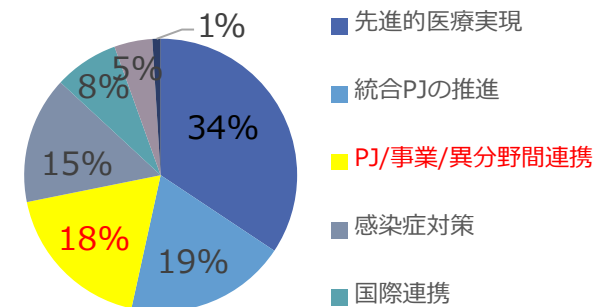
・第2期を通じた新型コロナウイルス感染症対策への迅速かつ着実な取組

- 補正予算や調整費等 1,515 億円を活用して 440 課題を支援、ワクチン開発、診断法開発、治療法開発等を迅速かつ着実に取り組み、ワクチン(4件)、医療用検査薬(23件)、医療機器(2件)の承認に繋がった。
- 委託研究費支出のルール緩和、研究費の繰越しや延長(令和2年度:繰越し567件、令和3年度:483件、令和4年度:78件)など、円滑な事業運営を図った。
- 今後新たなパンデミックが発生した場合に適切な対処ができるよう、今般の新型コロナウイルス感染症に対する AMEDによる支援実績やそれにより得られた成果や見いだされた課題等を総括した。

・研究開発提案書及び研究開発計画書の様式の改善

- 令和5年6月に開催された「研究・経営評議会」において議長から指摘があった評価のあり方等に関する議論を受け、研究開発提案書及び研究開発計画書の様式(ひな型)について、研究者や評価委員等に意見を伺ったところ、現行版に関し研究者から「書きづらい」、評価委員から「読みづらい」という指摘があり、より「書きやすい」「読みやすい」ものへ改善を図った。特に、研究開発提案書と研究開発計画書は共通する記載内容が多く存在するため、記載項目・順序について共通化を図ることで、研究開発代表者等の書類作成及び評価委員の評価業務に係る負担低減、PSPOによる研究開発課題マネジメント強化に貢献した。

第2期調整費(理事長裁量経費)配分金額の割合
※令和5年度第3回調整費までの配分額を集計



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



R5年度評価＋見込評価

※中長期計画期間としての主要事項: 青字、令和5年度実績: 下線付き、主要事項かつ令和5年度実績: 青字下線

① -2 「社会共創(Social Co-Creation)」

・社会共創・ダイバーシティの推進

- 令和2年度に、COVID-19に関する迅速かつ有効な対策が求められる状況に鑑み、感染症研究開発ELSIプログラムを創設し、感染症研究領域におけるELSIやコミュニケーションのあり方に関する調査を実施した。
- 令和3年10月に組織改正を行い、社会共創を推進する部署として新たに「研究公正・社会共創課」を設置し、社会共創に係る体制を強化した。
- 令和4年度から、新たにAMED 社会共創 EXPO を実施することとし、研究者、患者経験者、AMED 職員等で構成される実行会議によりこれを企画立案し、JST 社会技術研究開発センター(RISTEX)等の協力を得て、毎年度開催している。
- 令和5年度に、AMED 事業に参画する研究者等への啓発を行うべく、「社会共創の推進に係る取組方針」及び「ダイバーシティ推進に係る取組方針」を策定し、理事長メッセージとして令和6年度の公募要領及び AMED ウェブサイトにおいて発信するとともに、AMED 臨床研究・治験推進研究事業において「研究への患者・市民参画(PPI)」に関するeラーニング教材を作成・公開した。
- これらのほか、AMED 事業における PPI取組事例等をAMED ウェブサイト等において公開(第2期:7件(令和5年度:4件))するなど、社会共創等を推進するための取組を実施した。

AMEDからのメッセージ

国立研究開発法人日本医療研究開発機構 (AMED)
理事長 三島 良直

社会共創の推進に係る取組

AMED事業である研究開発は、いずれも我が国における健康・医療に関する課題の解決に資するものであり、社会との対話や協働を通じて、国民の安全・安心を確保しつつ、社会から理解・信頼を得ながら実用化を進めることが必要です。研究開発成果を一刻も早く実用化し、患者・家族の元にお届けし、社会の発展に貢献するため、AMED事業においては、研究開発の初期段階から倫理的・法的・社会的課題(ELSI: Ethical Legal and Social Issues)を把握・検討し、その対処方策を研究計画等に組み込んで研究開発を推進します。

また、医療分野の研究開発の実施に当たっては、医療研究開発の現場がより良いものとなり、その結果として研究成果が社会により良い形で普及・還元されることに寄与することが求められます。そのためには、医療研究開発の意義やそれが社会にもたらす恩恵等を積極的に社会と共有すること、研究開発の立案段階から患者・市民参画(PPI: Patient and Public Involvement)によって社会のニーズに応えるような研究開発成果を創出すること、対等なパートナーシップに基づく研究者と患者・市民の協働が広がることが重要で、このような観点から、患者一人ひとりに寄り添い、3つのLIFE(生命・生活・人生)を支えながら、医療分野の研究開発を一刻も早く実用化し、患者・医療の元にお届けするという使命を果たすため、AMED事業においては、医療研究開発プロセスにおいて、研究者が患者・市民の意見をとり入れるPPIの取組を推進します。



研究開発におけるダイバーシティ推進に係る取組

「ダイバーシティ(多様性)」はイノベーションの源泉であり、一人ひとりの幸せや創造的な価値を実現するために必要不可欠な要素です。AMEDは健康・医療に関する研究開発に参画するすべての分野と役割におけるダイバーシティを重視し、最新の医薬品と医療技術が必要としている

理事長メッセージの発信(R5.10)



第2回AMED社会共創EXPOの開催(R5.12)

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



R5年度評価＋見込評価

※中長期計画期間としての主要事項: 青字、令和5年度実績: 下線付き、主要事項かつ令和5年度実績: 青字下線

② 研究不正防止の取組の推進

・研究倫理教育教材の普及・高度化

- 第1期に作成した「事例から学ぶ公正な研究活動～気づき、学びのためのケースブックから」(日本語版、英語版)、「研究公正におけるヒヤリ・ハット集」(日本語版、英語版)及び「適正な画像処理方法～雑誌の投稿規定の解説～」(日本語版、英語版)について、HP公表及び冊子配布により、普及・周知に努めるとともに、「研究公正に関するヒヤリ・ハット集」については、21事例2コラムを追加した第2版(日本語版、英語版)を作成・公開した(計52事例8コラムを掲載)【日本語版: 令和4年度、英語版: 令和5年度】。



「研究公正に関するヒヤリ・ハット集」第2版 (日本語版、英語版)

・他の資金配分機関と連携した研究公正の推進

- 文部科学省研究公正推進事業の一環である研究公正シンポジウムを、令和2年度及び令和5年度はAMED主催により、他の資金配分機関(JST、JSPS、NEDO、BRAIN)と連携して実施することにより、研究機関における公正な研究活動に係る取組を推進した。また、上記の5つの資金配分機関の研究公正担当者会議を定期的に開催し、研究不正防止や研究公正推進に関するナレッジシェアリングを実施した。



研究公正シンポジウム (R5.11)

・研究公正に係る情報発信及び関係機関の連携の促進

- 研究公正・研究倫理の関係者等が参画する RIO ネットワーク(R5: 約1,470機関、約4,800名)により、研究公正・研究倫理に関する情報をメールマガジンにより隔週配信することにより、研究公正・研究倫理リテラシーの向上と関係者のネットワーク強化に貢献した。【令和2年度～】
- 「研究公正におけるヒヤリ・ハット集」や「適正な画像処理方法～雑誌の投稿規定の解説～」等を活用し、これらに関する講習会・ワークショップ等を開催した【令和2年度～】
- 令和3年度の年度評価における指摘を踏まえ、研究倫理を語る会や日本臨床試験学会と連携し、全国の研究倫理の専門家のネットワークとナレッジシェアリングの強化等に貢献した。



研究倫理を語る会 (R5.2)

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



R5年度評価＋見込評価

※中長期計画期間としての主要事項: 青字、令和5年度実績: 下線付き、主要事項かつ令和5年度実績: 青字下線

② 研究不正防止の取組の推進

・研究公正高度化モデル開発支援事業の推進

- 令和元年度に開始した研究公正高度化モデル開発支援事業(第2期)について、研究倫理教育に関するモデル教材・プログラム等の開発について7課題を、研究公正の取組み強化のための調査研究について2課題を実施し、それぞれの成果を、AMEDのHPにおいて公表した。
- 令和4年度に開始した研究公正高度化モデル開発支援事業(第3期)について、質の高い倫理審査を支える専門職養成、研究倫理コンサルテーションの高度化、超急性期臨床試験における適切な同意手続、研究公正の実態把握の高度化、臨床研究技能と研究公正の統合学修の実用化等の観点から、6課題を実施している。

・研究倫理教育プログラム履修状況報告等の報告の在り方の見直し

- 研究機関における研究者等の利益相反管理報告及び研究倫理教育プログラム履修状況報告について、AMED及び研究機関の事務負担を軽減する観点から、令和6年度事業に係る報告から報告のあり方について見直しを行い(関係規則や事務処理説明書の見直し)、当該変更をHPに掲載するとともに、AMED事業を実施する研究機関に周知した。

・研究不正事案への対応

- 個別の不正事案については、研究機関に対して厳正な調査を求めるとともに、不正等と認定された研究者及び研究機関には、競争的研究費等の応募制限や研究費の返還を科すなど厳正な措置を行った(R2-5:4件(うち、R5:2件))。

研究公正高度化モデル開発支援事業(第2期)

	課題名
1	医生命科学系学会の学会員研究倫理素養の均てん化に向けた学修機会の提供(市川家國 信州大学)
2	倫理審査委員会にかかわる人材育成のための統合的プログラムの開発(江花有亮 東京医科歯科大学)
3	医療分野における研究倫理教育教材の総合的活用プログラムの開発(松井健志 国立がん研究センター)
4	臨床研究トレーニングに組み入れ可能な能動的な研究倫理学習プログラムの開発(森本剛 兵庫医科大学)
5	学際的アプローチによる研究倫理教育のモデル評価プログラムの開発と検証(瀬戸山晃一 京都府立医科大学)
6	研究公正の推進に資する質問紙調査の活用に関する研究(中村征樹 大阪大学)
7	研究機関の研究支援ガイドラインの構築に関する国際調査研究(野内玲 信州大学)

研究公正高度化モデル開発支援事業(第3期)

	課題名
1	医学研究の開発における質の高い倫理審査を支える専門職の養成、ネットワーク構築、および研究者支援体制の開発(江花有亮 東京医科歯科大学)
2	高品質のIRB 審査の基盤となるIRBクラブの設立およびIRB運用ハンドブックの作成と普及に関する研究(山本洋一 大阪大学)
3	医療分野研究開発の推進に資する研究倫理コンサルテーションの実装配備に向けた、専門家教育の高度化プログラム開発と資格制度の骨格設計(松井健志 国立がん研究センター)
4	脳卒中超急性期臨床試験における適切な同意手続の確立に関する研究(福田真弓 国立循環器病研究センター)
5	研究公正の実態把握の高度化に関する研究とその普及に資するシステム実装(中村征樹 大阪大学)
6	臨床研究者による活用を目指した臨床研究技能と研究公正の統合学修の実用化(森本剛 兵庫医科大学)

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



R5年度評価＋見込評価

※中長期計画期間としての主要事項：青字、令和5年度実績：下線付き、主要事項かつ令和5年度実績：青字下線

③ 研究データマネジメント

・AMEDの研究開発成果データの利活用のための基盤の整備

限られた予算から最大限の効果を引き出すために、AMEDでは第1期より一貫してデータ利活用を推進してきた。第1期ではゲノムPJにFAでは初となるデータシェアリングポリシーを適用し、第2期の令和3年度には「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AMED全研究開発課題に拡充した。

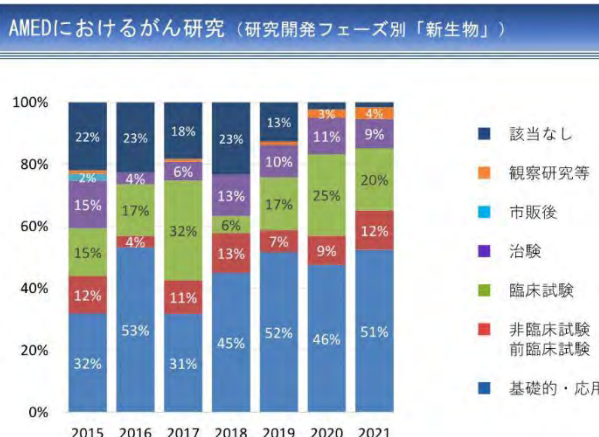
一方で、人に係る医療分野のデータの利活用を推進するためには、研究参加者からの理解が必須であることから、令和4年度より「AMED説明文書用モデル文案」の検討を進め、令和5年7月に公開することができた。これにより、AMEDの人に関する研究開発に関しては原則、このモデル文案が適用されることとなった。

このモデル文案に寄せられた意見や質問はFAQとして公開・協力・普及に努める。

更なるデータ利活用の推進には、社会・国民の理解が前提にあり、関係府省庁等の政策に基づいて実施していく必要がある。

・データに基づく事業横断連携

➤ AMED研究開発マネジメントシステム (AMS) データを活用し、各疾患領域における課題数・研究費、研究の性格、承認上の分類、開発フェーズなどのデータをもとに分析を行った。分析結果はがん疾患領域マネージメントとして「今後のがん研究のあり方に関する有識者会議」、分野間・事業間連携のため「サルコペニア・フレイルシンポジウム」にて関連する事業や研究開発課題の紹介に活用した。



AMEDにおけるサルコペニア・フレイル関連課題の状況



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



R5年度評価＋見込評価

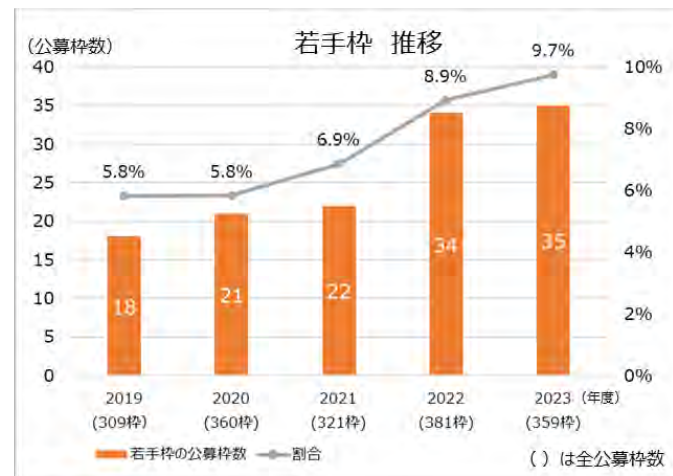
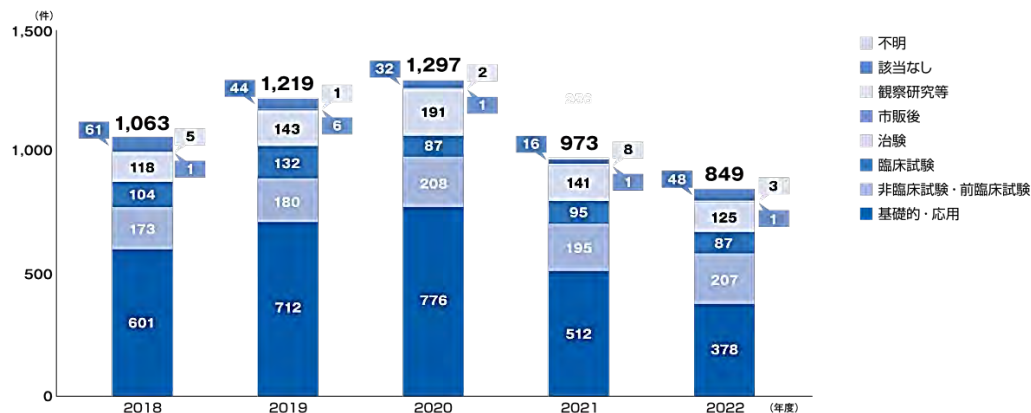
※中長期計画期間としての主要事項: 青字、令和5年度実績: 下線付き、主要事項かつ令和5年度実績: 青字下線

③ 研究データマネジメント

・若手枠の設定や事後評価実施状況/結果など可視化に効果的(効率的)な運営

- AMS データを様々な角度(PJ、疾患領域、開発目的)から集計し、「AMED データブック」としてHP に公表し、機構の概要説明に活用した。また、AMED オンライン課題評価システム(ARS)、府省共通研究開発管理システム(e-Rad)、公募採択状況の情報を集計・分析することで、各事業の若手枠の設定や事後評価の実施状況/結果などを可視化し、情報分析レポートとして内部共有を図り、AMED内の評価業務効率化などに活用した。

「医薬品・医療機器等の開発を目指す研究」の開発段階別 課題数 推移(AMEDデータブック2022より)



* 2024年3月末時点の採択確定分

・研究データ管理や研究マネジメント効率化のための基盤整備

- 研究データ管理や研究マネジメントを効率的に実施するため、AMEDfindでの公開データの事業課確認のオンライン化(令和3年度)や、AMSの利便性及び拡張性の向上並びにセキュリティ強化等の改善を行った(令和5年度)。
- 機構及び実施機関における業務効率化及びデータ品質向上を図るため、契約、課題管理、予算執行等について機構及び実施機関の双方がオンラインで共有する新システム(A-POST)を構築し、実運用を開始(令和5年度)するとともに、e-RadとAMEDオンライン評価システム(ARS)との連携強化(連携する項目の拡大等)等を行った。また、A-POSTとAMSの連携に向けた検討を開始した(令和5年度)。

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



R5年度評価＋見込評価

※中長期計画期間としての主要事項: 青字、令和5年度実績: 下線付き、主要事項かつ令和5年度実績: 青字下線

④ 実用化に向けた支援

・機構内連携による研究開発マネジメント手法や実用化の支援手法の改善

- 事業課へのヒアリングを新たに実施し、実用化に向けた具体的プログラムを有する事業を精査。これを踏まえて、AMED-FLuXやAMED-LINKなどの事業のフォローアップ会議に知的財産コンサルタントが同席することで実用化に向けた機構内協力体制を新たに構築。さらに、再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラムにおける支援体制構築に向けたアドバイス、橋渡し研究プログラムと創薬ベンチャーエコシステム強化事業とのシーズ情報の共有に向けた協議、創薬ブースターにおける支援課題をAMEDふらっとに掲載すべく協議をそれぞれ新たに実施。

・スタートアップ支援のための他機関との連携の強化

- JSTとの連携として令和6年3月に「新技術説明会(再生・細胞医療・遺伝子治療 ～AMED～)」を7年ぶりに開催。MEDISOとの連携として「AMED シーズアクセラレーションピッチ」イベントを令和5年10月のJHVS(BioJapanの併設イベント)で新たに開催。

・円滑な研究開発マネジメントのための特許出願非公開制度の影響調査・分析

- 令和6年5月の特許出願非公開制度の開始後も円滑な研究開発マネジメントを継続するため、AMEDや受託研究機関等の業務に与える影響と実務遂行上の留意点を整理し、AMED職員や受託研究機関等が正しく本制度について理解することを目的とした調査・分析を新たに実施。

・官民支援機関連携によるインキュベーション・マッチング支援

- スタートアップ支援に向け、政府系研究開発ファンディングを含む16機関による「スタートアップ・エコシステムの形成に向けた支援に関する協定」のもと、AMED内でのスタートアップ相談窓口の設置や、16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を継続して実施し、連携機関から紹介を受けた相談者を、AMED公募事業に繋げた。

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



R5年度評価＋見込評価

※中長期計画期間としての主要事項: 青字、令和5年度実績: 下線付き、主要事項かつ令和5年度実績: 青字下線

④ 実用化に向けた支援

・有望シーズの適時把握による戦略的な知財支援

- 知財のみならず実用化の観点から幅広い専門性に対応したAMED知財リエゾンを配置し、機構内の知的財産コンサルタントと連携して、コンサルテーションをベースとした支援を継続して実施。

・知財活用・成果導出に向けた普及啓発、人材育成

- AMED採択課題の研究成果が実用化につながった事例及び要因分析から得られた研究成果の実用化に資する情報を資料にまとめ、ホームページ等により機構内外に共有した。
- 研究者・導出支援者に対する成果導出セミナー等を開催し、特に商談会参加に向けたプレゼン資料の作成ノウハウや海外商談会事情等の情報を新たに提供する等の人材育成活動を継続して行った。
- 学生向けの知財教材を作成し、大学等の研究機関等で活用された。



・知財マネジメント支援、マッチング支援の実施

- 有望シーズを適時把握し、国内外の商談会参加支援をのべ329課題(令和2～5年度合計)を行うとともに、支援後のフォローアップ面談を実施し、企業とのマッチング成立件数 458件(令和2～5年度合計)の達成に貢献した。
- 知的財産支援として、①研究者が保有するシーズについて、過去に発表された特許・論文の状況を調査する先行技術調査、②研究者が保有するシーズに対し興味を示す企業を調査するライセンス可能性調査、③医療ニーズを解決する手段を保有する連携企業を探索する医療ニーズ調査等の知財調査を136件(令和2～5年度合計)実施した。研究機関の知財取得等件数は825件(令和2～5年度合計)が報告された。
- アカデミア発シーズと企業ニーズとを早期にマッチングするためのWebシステム「AMEDぷらっと」について、研究機関や企業とのオンライン面談等により利用を促進した結果、参加者157者、登録247件となった。

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



R5年度評価＋見込評価

※中長期計画期間としての主要事項：青字、令和5年度実績：下線付き、主要事項かつ令和5年度実績：青字下線

④ 実用化に向けた支援

・知財・実用化支援の有効性検証等のための追跡調査手法等に関する調査の実施

➤ これまでに実用化推進部で知財・実用化支援を実施した案件に対し、現在の研究開発状況を確認するとともに、今後の定期的な調査を念頭に、その調査方法や確認すべき項目の検討等を行うことを目的に実施。平成28年度以降に行った知財・実用化支援(371件)を対象とし、アンケート調査を実施したところ180件(48.5%)の回答があった。さらに、8件の成果事例(支援の有効度が高く、支援前の課題が解決した案件)及び、2件の進展事例(支援の有効度は評価されているが、支援前の課題が解決していない案件)についてヒアリングを実施した。当該調査結果から、7割以上の相談者が提供した支援メニューに対し有効であったことを回答した。また、当該調査結果は、今後の支援戦略の策定や研究機関に対する助言等に活用する予定。

・支援終了後の成果把握

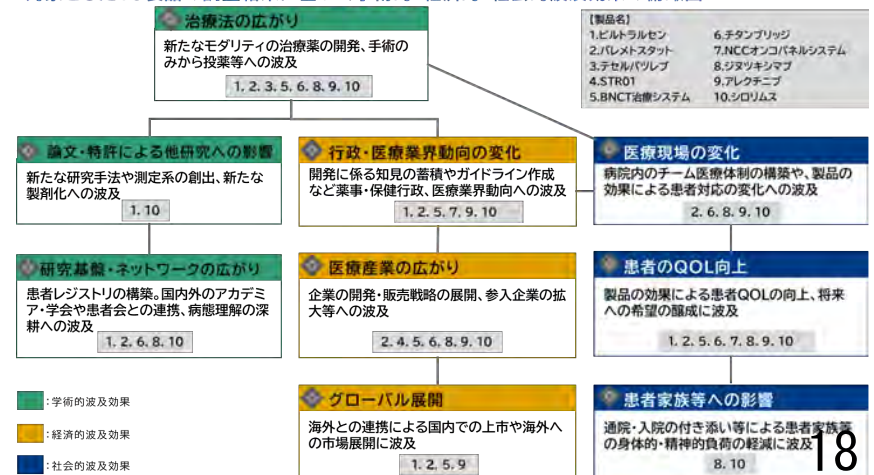
➤ AMEDの支援終了後に実用化された成果を把握するため、追跡調査を行い、報告書を取りまとめた(令和6年4月公開)。今回の試行的調査方法を踏まえ第3期に向けた追跡調査のスキームを構築する。

① 網羅的・俯瞰的な進捗状況調査：支援終了後8年,7年,4年,3年の全3257課題を対象にアンケートを実施(回答率71.9%)。約73%は支援終了後も研究開発を継続しており、診療ガイドライン等に反映された研究成果は第1期の支援課題で第2期で創出されたものも多く、長期に渡る追跡調査の必要性を確認した。

② 成果論文の調査：学術的な傾向把握のため調査を実施。臨床試験・治験に関わる論文割合は増加傾向、企業共著割合は海外のFAより高水準であった。

③ 研究成果の展開・波及効果の調査：支援終了後に上市に至った10製品を対象とした調査を行い、多様な波及効果をもたらしていることを見出した。(右図)

対象とした10製品の調査結果に基づく学術的・経済的・社会的波及効果の俯瞰図



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



R5年度評価＋見込評価

※中長期計画期間としての主要事項: 青字、令和5年度実績: 下線付き、主要事項かつ令和5年度実績: 青字下線

⑤ 国際戦略の推進

医療分野研究開発計画の成果の最大化に向けて、これまで構築した国際的なネットワークの基盤を効果的・効率的に活用し、新型コロナウイルス流行の終息を見据えつつ、引き続き重点的に連携強化すべき地域・国(米国、欧州主要国)や重点分野(感染症、がん・ゲノム、認知症研究)を念頭におき、国際連携を戦略的に推進した。

・諸外国関係機関・幹部陣との関係構築及び交流

- 理事長は、国際会議等の機会を積極的に活用した海外FA幹部とのバイ会談を実施し、今後の協力連携について意見交換することでAMEDトップ外交を推進した。また、科学技術合同委員会等を通じた関係機関との連携維持・構築を実施した。相手国政府機関等からは、特にASPIREのような協力を今後拡大していきたいという表明を得られた。

【米国】

米国国立衛生研究所(NIH)及びNIH傘下機関(NIAID、NCI、FIC)とのバイ会談(令和5年4月)及びNIH新長官、NIAID新所長、NCI新所長に対するオンライン表敬挨拶(令和5年12月～令和6年2月)により、日米医学協力計画の更なる発展のために密な関係を維持した。

【英国】

英国研究・イノベーション機構(UKRI)、英国首席科学顧問とのバイ会談(令和5年10月)及び英国医学研究会議(MRC)新会長に対するオンライン表敬挨拶(令和6年2月)により、関係を強化した。日英ニューロサイエンスシンポジウム(令和5年8月)における日英認知症研究者間の交流を通じてAMED-MRC間の連携を強化した。上記一連の活動及び英国政府関係機関幹部へのASPIRE参画を積極的に働きかけることにより、MRCとの共同公募の設定に成功した。

日英科学技術合同委員会に参加した英国国立保健医療研究所(NIHR)、MRC、AMED三者間で具体的連携について議論を深め、がん研究分野における連携を開始した。

【欧州】

欧州委員会研究・イノベーション総局長代理、スウェーデンVinnova理事長、ドイツ研究振興協会(DFG)事務総長、ノルウェー研究評議会(RCN)理事長らとのバイ会談(令和5年10月)により、関係を強化した。

先端国際共同研究プログラム(ASPIRE)について、欧州研究会議(ERC)を通じた欧州全体への協力要請を行い、第3回公募(アライメント公募)からERCやノルウェーなどからの参加表明を得た。

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



R5年度評価＋見込評価

※中長期計画期間としての主要事項: 青字、令和5年度実績: 下線付き、主要事項かつ令和5年度実績: 青字下線

⑤ 国際戦略の推進

【韓国】

AMEDと韓国保健産業振興院(KHIDI)の両理事長がバイ会談を行い(令和5年4月 於:ワシントンDC)、それに基づきAMEDとKHIDI共催による日韓合同シンポジウムを開催し、計130名が参加。再生医療分野(ゲノム編集技術、細胞治療含む)における橋渡し研究(トランスレーショナルリサーチ)をテーマに、両国の最新の研究開発動向・成果の紹介に加え、両国間の将来的な研究協力についてのパネルディスカッションを実施した(令和5年11月 於:東京)。



シンポジウム登壇者ら

・日米連携: 米国国立衛生研究所(NIH)との連携強化及び研究者派遣

- 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」に基づき、令和4年度にNIH国立アレルギー感染症研究所(NIAID)との複数回の会合を重ね、具体的な連携項目について合意。特に研究課題のマッチングに向け、AMEDのPS、PO、事業担当者とNIH/NIAID担当者間の実務者会議を実施した。
- AMED研究者への米国側研究者訪問を支援し、米国研究者との連携強化及び新たな連携に向けた関係を構築。令和5年度までに32組48名を派遣し、ASPIRE採択1件、追加研究資金獲得3件、若手研究者の留学2件となった。



日米感染症協力に関する実務者会議

(令和4年12月13日-14日 米国メリーランド州)

米側はNIAID所属の各事業担当スタッフPOを中心に参加、日本からはPS/POが参加

・国際協調の取組

- 欧州委員会の欧州保健緊急事態準備・対応総局(HERA)と感染症研究開発に係る協力に関する取決めに署名した。AMED-HERA間の定期会合開催について合意。ハイレベル、実務者同士の今後の連携について議論した。

・海外事務所を活用した国際共同研究や情報収集・発信への取組状況

- ワシントンDC事務所:「日米競争力・強靱性(コア)パートナーシップ」に基づく連携強化のため、米国国立アレルギー・感染症研究所(NIH/NIAID)と実務者会議開催のための調整と研究者マッチングの日米双方の研究課題情報の共有を継続的に推進した。
- ロンドン・リエゾン: 感染症のアウトブレイクに対する国際連携ネットワーク(GloPID-R)などの国際アライアンスの会合情報などを継続的に本部に共有した。

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



R5年度評価

【評価指標】		令和5年度の達成状況	補足
1	研究・経営評議会の取組状況	令和5年6月8日に開催し、自己評価に係る外部評価として意見を頂いた。	
2	プロジェクトマネジメントの取組状況	PD全体会議における意見交換を通じて第2期の振り返り及び第3期に向けた課題をまとめた。	
3	アドバイザリーボードの取組状況	令和5年12月15日に開催し、直近の主な取組として疾患領域に注目したマネージメントや社会共創の取組等について説明し、患者や医療現場、研究者、産業界等の目線に立った意見をいただいた。	
4	事業間の連携の進捗状況	各事業運営や連携に役立てるため、AMSを活用し、各統合PJ・疾患領域における研究開発の動向等を分析・可視化や事業間連携を推進した。	
5	各統合プロジェクト間の連携の進捗状況	PD全員が集う統合プロジェクト連携会議での意見交換や①医薬品プロジェクトで推進している製薬企業有識者による実用化に向けた助言を行う「AMED-FLuX」、②医療機器・ヘルスケアプロジェクトで推進している医療機器を対象とした「実用化プログラム」において、他の統合PJの研究開発にも対象を拡大するなど統合PJを超えた支援を実施した。	
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	④ゲノム・データ基盤プロジェクトと⑤疾患基礎研究プロジェクトにまたがる認知症研究開発事業と脳とこころの研究推進プログラムのPSPO及び所管府省を集めた意見交換会での議論を経て基礎と臨床の連携を促進するための認知症研究者交流会企画開催、⑥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「感染症創薬基盤」領域と⑤疾患基礎研究プロジェクトの「新興・再興感染症研究基盤創生事業(多分野融合研究領域)」とのPSPO連携マネジメントの下、領域会議や多分野融合会議等を開催し、新たな連携課題を創出した。	
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、資金配分機関の長による意見交換会(5FA会合)に積極的に参加し連携等を推進した。	
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	橋渡し研究支援機関が令和5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6拠点49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



R5年度評価

【評価指標】		令和5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	革新的先端研究開発支援事業の「マルチセンシング」領域、「老化」領域では、AMEDとJSTのPSPO連携マネジメントの下、共通基盤体制を構築し、研究者の異分野連携や共同研究につなげた。また「プロテオスタシス」領域では、JSTとJSPSとタンパク質研究シンポジウムを開催し、研究成果の加速・推進を図った。	
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	令和4年度研究開発課題を対象に、AMSに搭載されている研究課題のタグを活用して、統合プロジェクト、疾患領域、対象疾患、開発目的等の分析を行い、表・グラフ等にまとめAMEDデータブック2022年度としてAMEDホームページにて公開した。	
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	がん領域では、DCおよび疾患調査役の連携により、これまでの成果の取りまとめや次期がん研究10か年戦略への取組準備を進め、政府の「今後のがん研究のあり方に関する有識者会議」での議論等にも貢献した。生活習慣病領域および老年医学・認知症領域では、両DCの下で「サルコペニア・フレイルシンポジウム」を開催、基礎研究の充実等の事業間連携の可能性を見出した。また、感染症分野の情報共有の場を設け、第3期の疾患領域のAMED内推進体制検討につなげた。	
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	厚生労働省およびAMED 革新的がん医療実用化研究事業と連携し、難病におけるゲノム・データ基盤構築研究を推進し、検体および臨床情報収集・患者還元・利活用にかかるオールジャパン体制を整備した。厚生労働省と連携し、難病全ゲノムプロジェクトを補完する、患者数の少ない難病の発病機構解明研究を行い個別化医療を推進する公募を開始した。	
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： 153 評価委員会 開催実績 275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	ピア・レビューの方法等について、これまでの蓄積を踏まえ、評価システムの共通化・最適化を継続的に推進した。更なる課題評価の質の一層の向上と日本の研究環境の国際化への貢献のため、国際レビューを令和5年度は2事業2領域で導入した。外国の研究機関に所属する外国人専門家等による課題評価の円滑な実施を支援しつつ、令和5年度は運営合理化を進め、令和6年度からはAMEDレビュー導入支援機能の一部の終了、一部業務の内製化を図ることとした。 ・令和5年度AMEDレビューによる査読を行った公募の数：5(2事業・プログラム、2領域) ・令和5年度査読を完了したレビューの延べ人数：14名	
15	シンクタンク機能に関する取組状況	JST-CRDSとの創薬モダリティ/基盤技術の開発動向に関する意見交換や委託調査結果を踏まえて、第36回健康・医療戦略推進専門調査会(令和5年11月15日開催)に第3期医療分野研究開発推進計画に向けた課題として理事長から提示した。また、SCARDAにおける情報収集・分析機能として、ワクチン等医薬品の研究開発等の経験を持つ職員のチームが、最新の知見・技術、エビデンスに基づき、応募の提案内容を分析するとともに、SCARDAのワクチン研究開発の戦略を策定し、公表した。	

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



R5年度評価

【評価指標】		令和5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	AMED事業における研究を公正かつ適切に実施するため、AMED事業に参加する研究者等に対して研究倫理教育の履修を引き続き義務付けるとともに、研究公正・研究倫理に関する取組の普及・展開を図るため、令和4年度に開始した研究公正高度化モデル開発支援事業(第3期)の6課題を引き続き実施した。	
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	①研究倫理教育教材である「研究公正に関するヒヤリ・ハット集」(第2版:英語版)(第1版から21事例2コラムを追加し52事例8コラムを掲載)の作成・公開、②研究公正・研究倫理に関する情報を研究公正関係者(R5:約4,800人登録)に対する定期的な情報発信、③研究公正シンポジウム(1回)や学会等と連携した取組(2回)等を通じて、研究公正・研究倫理に関する知見共有、専門人材育成、関係者の連携強化に貢献した。	
【評価指標】		令和5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	・AMSの利便性及び拡張性の向上並びにアクセス権限のより細やかな制御等のセキュリティ強化を図った新バージョンをリリースするとともに、機構内の説明会等で周知し、新バージョンの活用を促進した(令和5年7月)。 ・業務効率化及びデータ品質向上のために、研究開発実施機関との契約情報、課題の進捗、予算執行状況等について、機構と実施機関の双方がオンラインで共有する新システム(A-POST)を構築し、実運用を開始した(令和5年4月)。また、A-POSTとAMSの連携に向けた検討を開始した。	
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データ利活用プラットフォーム」を構築し、三大バイオバンクのゲノムデータのメタデータ横断検索からデータの処理までワンストップで実行可能なサービス提供を開始した。「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、「AMED研究データ利活用に係るガイドライン【ゲノム研究関連補足事項】」に集約し、「AMED研究開発データ利活用カタログ 2.0版」を公開した。	
3	他の統合プロジェクトへの展開の検討状況	・AMEDが支援する研究開発で得られた個人情報を含むデータの利活用促進のため、関係府省や有識者と連携し、「AMED説明文書用モデル文案」を公開し、令和5年度より一部事業に適用した。	
【評価指標】		令和5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2756件、相談件数170件、知財調査19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100件(20件/年)	245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	スタートアップ支援機関連携(PLUS)の参画機関に加えて、新たに医療系ベンチャー・トータルサポート事業(MEDISO)との連携による窓口のワンストップ化と連動した相談対応を開始する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95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



R5年度評価

【評価指標】		令和5年度の達成状況	補足
4	企業とのマッチング成立件数290件 (58件/年)	113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	事業課へのヒアリングを新たに実施し、実用化に向けた具体的プログラムを有する事業を精査。これを踏まえて、AMED-FLuX等の事業と実用化に向けた機構内協力体制を新たに構築。さらに、再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラムにおける支援体制構築に向けたアドバイス、橋渡し研究プログラムと創薬ベンチャーエコシステム強化事業とのシーズ情報の共有に向けた協議、創薬ブースターにおける支援課題をAMEDぷらっとに掲載すべく協議をそれぞれ新たに実施。また、知財・実用化支援の有効性検証等のための取組を実施し、今後の支援手法の改善に活用する。	

【評価指標】		令和5年度の達成状況	補足
1	国際戦略の検討状況	AMED国際戦略の第3期中長期目標期間を見据えた改定について、AMED内での検討を開始した。	
2	諸外国との関係構築への取組状況	<p>理事長は、国際会議等の機会を積極的に活用した海外FA幹部とのバイ会談を実施し、今後の協力連携について意見交換することでAMEDトップ外交を推進した。また、科学技術合同委員会等を通じた関係機関との連携維持・構築を実施した。</p> <p>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」に基づき米国国立衛生研究所(NIH)との連携強化の一環として、感染症分野のAMED研究者が米国側研究者を訪問する取組を行い、21組37名を派遣し、ASPIRE採択1件、追加研究資金獲得3件、若手研究者の留学2件となった。</p> <p>NIH、NIH傘下機関(NIAID、NCI、FIC)及びUKRI、英国首席科学顧問とのバイ会談、NIH新長官、NIAID新所長、NCI新所長及びMRC新会長に対するオンライン表敬挨拶により、トップ外交を推進した。</p> <p>英国政府関係機関幹部等へのASPIRE参画を積極的に働きかけにより、MRCとの共同公募の設定に成功した。日英科学技術合同委員会に参加したNIHR、MRC、AMED三者間で具体的連携について議論を深め、がん分野での連携を開始した。</p> <p>AMEDと韓国保健産業振興院(KHIDI)との令和5年4月のバイ会談に基づき、両機関共催による日韓合同シンポジウムを開催し、計130名が参加した。</p>	
3	グローバルなデータシェアリングへの取組状況	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と臨床データ・バイオリソース分野、北欧3カ国のNordForskと健康長寿分野でのデータサイエンスの分野で引き続き国際共同研究事業を実施した。	
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	ワシントンDC事務所は、「日米競争力・強靱性(コア)パートナーシップ」に基づく連携強化のため、NIAIDとは実務者会議開催のための調整と研究者マッチングの日米双方の研究課題情報の共有を進めた。またがん研究に関しては在米日本大使館との共催により日米オノロジーカンファレンスを開催し、専門家等94名が参加した。ロンドン・リエゾンは、GloPID-Rなどの国際アライアンスの会合情報などを本部に共有した。ワシントン、ロンドンとも定期的な理事長、SCARDAセンター長への情報提供を行った。	

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



見込評価

【評価指標】	令和2年度～5年度の達成状況	補足
1 研究・経営評議会の取組状況	令和5年度までに法人の外部評価を計6回開催し、委員から、自己評価書に関する意見をいただいた。その他、令和3年度には新型コロナウイルス感染症に関する研究開発、令和4年度には先進的研究開発戦略センター(SCARDA)の取組について説明を行い、委員より意見をいただいた。	
2 プロジェクトマネジメントの取組状況	PD全体会議を計10回開催するなど、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。	
3 アドバイザリーボードの取組状況	令和5年度までに計4回開催し、社会共創の取組を中心にAMEDの最近の取組を説明するとともに、令和3年度には先進的研究開発戦略センター(SCARDA)の取組状況、令和4年度にはワクチン開発・生産体制強化戦略への対応について説明を行い、患者や医療現場、研究者、産業界等の目線に立った意見をいただいた。	
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PDPSPDC会議等による事業間連携に関する意見交換の実施や、AMS分析結果による研究動向(例えば、がん、生活習慣病、ヘルスケア等)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	AMED-FLuXや実用化プログラムにおいて、他の統合PJの研究開発にも対象を拡大するなど統合PJを超えた支援を実施し、研究開発の加速・充実(例えば調整費の追加措置)、特許出願、ベンチャー起業等につなげた。また、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。	
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	④ゲノム・データ基盤プロジェクトと⑤疾患基礎研究プロジェクトにまたがる認知症研究開発事業と脳とこころの研究推進プログラムのPSPO及び関連省庁を集めた意見交換会、AMEDの「脳とこころの研究推進プログラム」とJSTの「マルチセンシング」の若手研究者を対象に連携シンポジウムや「脳とこころの研究推進プログラム」と「英国医学研究会議」共同で合宿型シンポジウムを開催し、神経科学、精神・神経疾患および脳神経科学に関する新しいアプローチを中心に日英の新たな共同研究につながるベースを築いた。	
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	令和5年度までに、6NC理事長会合、国立研究開発法人協議会、資金配分機関の長による意見交換会(5FA会合)に積極的に参加し連携等を推進した。	
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	橋渡し研究支援機関が令和2～5年度にシーズ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11拠点129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



見込評価

【評価指標】		令和2年度～5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	革新的先端研究開発支援事業の「老化」領域、「マルチセンシング」領域では、JSTと共通のPSを配置し、連携公募や合同連携会議等を開催、「プロテオスタシス」領域では、JSTとJSPSとシンポジウムを開催し、新たなネットワーク構築や共同研究を促進するなど適切に連携を図った。	
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 を用いて各統合プロジェクトにおける基礎と実用化の橋渡しに係る問題点や統合プロジェクト間又は事業間での連携の必要性等の検討を行い、がん疾患領域マネジメントとして、「今後のがん研究のあり方に関する有識者会議」、分野間・事業間連携のため「サルコペニア・フレイルシンポジウム」にて活用した。	
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。特に疾患領域の事業運営に詳しい疾患調査役と研究統括推進室の担当者が協力し、DCのサポートも含め、組織的な対応強化を図った。また、効果的な疾患領域の運営や事業間連携のあり方等について、各DCや事業担当と議論、PD 全体会議では各疾患領域の現状を各DCと意見交換し、疾患領域に関わる事業運営に活かすと共に、第3期の疾患領域マネジメントの在り方をまとめた。	
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	厚生労働省難病対策課と研究が行き届いていない難病領域の情報を頻回に協議し公募設計に活かした。患者数が特に少ない超希少難病の研究支援を加速する目的で、臨床データ集積を目指した公募を開始した。また、発病機構解明研究を通して、個別化医療を推進する公募を開始した。	
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： 623 評価委員会 開催実績 1022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	ピア・レビューの方法等について、これまでの蓄積を踏まえ、評価システムの共通化・最適化を継続的に推進した。外国の研究機関に所属する外国人専門家等による課題評価の円滑な実施を支援しつつ、令和5年度は合理化を進め、令和6年度からはAMEDレビューア導入支援機能の一部の終了、一部業務の内製化を図ることとした。 ・令和2～5年度AMEDレビューアによる査読を行った公募の数：35（20事業・プログラム、32領域） ・令和2～5年度査読を完了したレビューアの延べ人数：314名	
15	シンクタンク機能に関する取組状況	SCARDAにおける情報収集・分析機能として、ワクチン等医薬品の研究開発等の経験を持つ職員のチームが、最新の知見・技術、エビデンスに基づき、応募の提案内容を分析するとともに、SCARDAのワクチン研究開発の戦略を策定し、公表した。また、ワシントン事務所、ロンドン・リエゾンとともに定期的に海外の研究開発動向について理事長、SCARDAセンター長をはじめ各事業部署への情報提供や、各事業で実施している委託調査結果を機構内で共有するなど、AMED全部署が協働する分散型シンクタンク機能として研究開発動向分析等に取り組んだ。	

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



見込評価

【評価指標】		令和2年度～5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	AMED事業における研究を公正かつ適切に実施するため、AMED事業に参加する研究者等に対して研究倫理教育の履修を引き続き義務付けるとともに、研究公正・研究倫理に関する取組の普及・展開を図るため、令和元年度に開始した研究公正高度化モデル開発支援事業(第2期:～R3)7課題の成果をAMEDのHP等により公表・発信するとともに、同事業(第3期:R4～R6)の6課題を実施した。	
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	①研究倫理教育教材である「研究公正に関するヒヤリ・ハット集」(第2版:日本語版、英語版)(第1版から21事例2コラムを追加し52事例8コラムを掲載)の作成・公開、②研究公正・研究倫理に関する情報を研究公正関係者(R5:約4,800人登録)に対する定期的な情報発信、③研究公正に関するシンポジウム・講習会・ワークショップ等の開催を通じて、研究公正・研究倫理に関する知見共有、専門人材育成、関係者の連携強化に貢献した。	
【評価指標】		令和2年度～5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	・研究データ管理や研究マネジメントを効率的に実施するため、AMEDfindでの公開データの事業課確認のオンライン化(令和3年度)や、AMSの利便性及び拡張性の向上並びにセキュリティ強化等の改善を行った(令和5年度)。 ・機構及び実施機関における業務効率化及びデータ品質向上を図るため、契約、課題管理、予算執行等について機構及び実施機関の双方がオンラインで共有する新システム(A-POST)を構築し、実運用を開始した(令和5年度)。また、A-POSTとAMSの連携に向けた検討を開始した(令和5年度)。	
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	・これまでなしえなかった国内の主要なスパコン拠点の連携を実現し、オールジャパン体制で推進する利活用基盤の構築を主導。AMEDデータ利活用プラットフォームの構築及び、データ利用審査体制を整備し、三大バイオバンクの全ゲノム解析データについて、メタデータ横断検索からデータ処理を可能とするワンストップサービスの一般受付を開始した。	
3	他の統合プロジェクトへの展開の検討状況	・AMEDが支援する研究開発で得られた個人情報を含むデータの利活用促進のため、令和4年度より関係府省や有識者と連携し、「AMED説明文書用モデル文案」を作成、健康・医療データ利活用基盤協議会における議論を経て、令和5年7月に公開、令和5年度より一部事業に適用した。	
【評価指標】		令和2年度～5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9921件、相談件数1002件、知財調査136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100件(20件/年)	825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	スタートアップ支援機関連携(PLUS)の参画機関に加えて、新たに医療系ベンチャー・トータルサポート事業(MEDISO)との連携による窓口のワンストップ化と連動した相談対応を開始する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329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



見込評価

【評価指標】		令和2年度～5年度の達成状況	補足
4	企業とのマッチング成立件数290件 (58件/年)	458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	知財・実用化支援活動で蓄積された専門性・ノウハウの機構内提供によるAMED全体としての効果的な伴走支援の実現に向けて、コンサルテーション支援のノウハウをAMED事業支援プログラムに適用する等、事業担当課への提供を実施。	

【評価指標】		令和2年度～5年度の達成状況	補足
1	国際戦略の検討状況	AMED国際戦略の改定を見据えて、医療研究開発分野の幅広い研究領域をカバーする有識者からなる国際戦略推進委員会を設置した。R4年度の本委員会では、科学技術先進国との共同研究を進める上で、重要な研究課題・領域についてリストアップし、重要研究領域を提案した。	
2	諸外国との関係構築への取組状況	<p>理事長は、国際会議等の機会を積極的に活用した海外FA幹部とのバイ会談を実施し、今後の協力連携について意見交換することでAMEDトップ外交を推進した。また、科学技術合同委員会等を通じた関係機関との連携維持・構築を実施した。</p> <p>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」に基づき米国国立衛生研究所(NIH)との連携強化を図るため、令和4年度にNIH国立アレルギー感染症研究所(NIAID)との間で会合を繰り返し、具体的な連携項目について了解した。特に日米両者間で連携可能な研究課題のマッチング形成に向け、①AMED内の複数の感染症研究関連支援事業のPS、PO及び事業担当者とNIH/NIAID担当者間による米国での対面による実務者会議、②令和4年度から5年度にかけて既存支援課題の研究者と米国研究者との更なる連携強化及び新たな連携に向けた関係構築のための米側研究者訪問支援、を実施した。研究者訪問については、令和5年度までに32組48名を派遣し、ASPIRE採択1件、追加研究資金獲得3件、若手研究者の留学2件となった。</p> <p>英国政府関係機関幹部等へのASPIRE参画を積極的に働きかけにより、MRCとの共同公募の設定に成功した。日英科学技術合同委員会に参加したNIHR、MRC、AMED三者間で具体的連携について議論を深め、がん分野での連携を開始した。</p> <p>AMEDと韓国保健産業振興院(KHIDI)との令和5年4月のバイ会談に基づき、両機関共催による日韓合同シンポジウムを開催し、計130名が参加した。</p>	
3	グローバルなデータシェアリングへの取組状況	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と臨床データ・バイオリソース分野、北欧3カ国のNordForskと健康長寿分野でのデータサイエンスの分野で引き続き国際共同研究事業を実施した。	
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	ワシントンDC事務所は、「日米競争力・強靱性(コア)パートナーシップ」に基づく連携強化のため、NIAIDとは実務者会議開催のための調整と研究者マッチングの日米双方の研究課題情報の共有を進めた。またがん研究に関してはNCI研究者によるAMEDがんムーブメントの評価への参画などを調整した。ロンドン・リエゾンには、MRCとの新規SICORP実現のための調整を行い、またGACD、GloPID-Rなどの国際アライアンスの会合情報などを本部に共有した。ワシントン、ロンドンとも定期的な理事長、SCARDAセンター長への情報提供を行った。	

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



① 医薬品プロジェクト

R5 年度評価	世界初の新薬など社会に大きなインパクトを与える可能性のある医薬品が承認された。また、技術支援基盤等の積極的な活用やAMED主導の産学連携強化により、新たな創薬分野を含む研究開発を推進するとともに、医療ニーズに即した研究開発を継続的に支援した。
評 定	① 技術支援基盤等の積極的な活用により、研究開発を推進することで、 <u>顕著な成果が認められた。</u>
自己評価	② <u>AMEDがハブとなり、産学連携を推進することで、新たな創薬分野を含む研究開発を積極的に後押しした。</u>
S	③ <u>開発が進みづらい分野の研究開発を戦略的かつ継続的に支援することで、医療ニーズに即した研究開発を推進した。</u>
	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。

見込評価	設定された第2期の各評価指標において、目標値を大きく上回る成果が得られ、患者さんに新しい医薬品を数多く届けることができた。また、AMED独自の仕組みを構築し、医薬品研究開発を加速・充実させ、実用化までの時間短縮に大きく貢献した。		R2	R3	R4	R5	
評 定	① <u>ほぼ全ての評価指標において、目標値を大幅に超える顕著な成果が得られた。さらに世界初の新薬など社会に大きなインパクトを与える可能性のある医薬品が承認された。</u>	自己評価		S	S	a	S
自己評価	② <u>AMED-FLuXなどアカデミアシーズの早期実用化を促進するためのAMED独自の仕組みを構築し、積極的に活用することで、研究開発の加速・充実に繋がる成果が得られた。</u>						
S	③ <u>技術支援基盤の充実により、研究開発の加速に繋がる成果が得られた。</u>	主務大臣評価		A	A	A	
	④ <u>多様なステークホルダーとの共同により、新たな創薬分野や新規モダリティ等の研究開発を推進した。</u>						
	⑤ <u>医療ニーズに即した研究開発を迅速かつ適切に推進することで、実用化に繋がる成果が得られた。</u>						
	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。						29

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



R5年度評価＋見込評価

※中長期計画期間としての主要事項: 青字、令和5年度実績: 下線付き、主要事項かつ令和5年度実績: 青字下線

① ほぼ全ての評価指標において、目標値を大幅に超える顕著な成果が得られた。さらに世界初の新薬など社会に大きなインパクトを与える可能性のある医薬品が承認された。

- ・ 新有効成分含有医薬品や画期的な診断用医薬品を含む28件(令和5年度5件)の薬事承認が得られ、患者さんに新しい医薬品を数多く届けることができた。また、実用化に向けて、421件(令和5年度77件)のアカデミアシーズや基盤技術が企業に導出された。

◆令和4年度の薬事承認事例

世界初のEZH1/2選択的阻害剤エザルミアが「再発又は難治性の成人T細胞白血病リンパ腫」に対する抗がん剤として承認【**新有効成分含有医薬品**】

AMEDが初期の開発段階からアカデミアと企業との連携を支援

がん幹細胞の維持に必要な分子(EZH1/2)を標的とした**新作用機序の抗がん剤**であり、他がん種への展開も期待される。

医療分野研究成果展開事業 産学連携医療イノベーションプログラム:
北林一生(国立がん研究センター)

◆令和5年度の薬事承認事例(1)

東レAPOA2-iTQが「膵がん」の診断を補助する体外診断医薬品として承認【**世界初の早期膵がん診断を実現する可能性**】

AMEDが省庁の枠(文科省⇒厚労省)を超えた事業間連携により、基礎から実用化までを一貫通貫して支援

膵がんは早期に発見することが難しいがんであり、既存の腫瘍マーカーでは早期検出が困難な状況であるが、既存の腫瘍マーカーとは異なる物質を測定することから、**これまでに検出できなかった膵がん患者を検出できる**ことが期待される。

次世代がん医療創生研究事業/革新的がん医療実用化研究事業:
本田一文(日本医科大学/国立がん研究センター)

◆令和5年度の薬事承認事例(2)

サルグマリンが**世界初の**「自己免疫性肺胞蛋白症」に対するサイトカイン吸入療法として承認【**新有効成分含有医薬品**】

AMEDが多施設共同第Ⅱ相医師主導治験を支援

自己免疫性肺胞蛋白症に対する**世界初の薬物療法**であり、**サイトカイン吸入療法としても世界初の薬事承認**となる。本治療法であるGM-CSF吸入療法は自己免疫性肺胞蛋白症だけでなく、肺の感染防御能を高めることが期待される。

難治性疾患実用化研究事業: 中田光(新潟大学)

◆令和5年度の薬事承認事例(3)

アセノベルが**世界初の**「縁取り空砲を伴う遠位型ミオパチー」に対する治療薬として承認【**新有効成分含有医薬品**】

AMEDが国内第Ⅱ/Ⅲ相試験を支援

縁取り空砲を伴う遠位型ミオパチーは10代後半～30代後半にかけて発症する指定難病であり、国内患者数は400人程度と推定される希少疾患である。開発がきわめて困難といわれている**ウルトラオーファンの疾患に対する治療開発の成功例**で患者の早期治療につながることを期待される。

難治性疾患実用化研究事業: 青木正志(東北大学)

希少疾病用医薬品指定前実用化支援事業: 鈴木良一(ノーベルファーマ株式会社)

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



R5年度評価＋見込評価

※中長期計画期間としての主要事項: 青字、令和5年度実績: 下線付き、主要事項かつ令和5年度実績: 青字下線

② AMED-FLuXなどアカデミアシーズの早期実用化を促進するためのAMED独自の仕組みを構築し、積極的に活用することで、研究開発の加速・充実に繋がる成果が得られた。

・AMED支援課題の早期実用化に向けて、製薬企業のアドバイザー(令和5年度時点で14社27名)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-FLuX会議を令和3年度に創設。その後、対象プロジェクトの拡大や対象課題の拡大等、会議の拡充を図り、令和5年度までに28課題を附議した。AMED-FLuX会議でのアドバイザーの助言を踏まえ、研究計画を見直すとともに、技術支援や調整費等による研究費の追加配賦を行う等、実用化に向けて積極的に伴走支援を行った結果、特許出願2件、企業導出2件(うち令和5年度1件)やベンチャー企業設立1件(令和5年度)等、実用化に繋がる成果を挙げることができた。

・また令和5年度には、AMED-FLuX会議で出されたアドバイザーのコメントを集約・一般化した「創薬ガイドブック」を作成し、ホームページに掲載することで、アカデミア研究者に対して創薬研究に関する製薬企業の考え方を広く周知した。

◆ AMED-FLuXを活用が実用化に繋がった事例

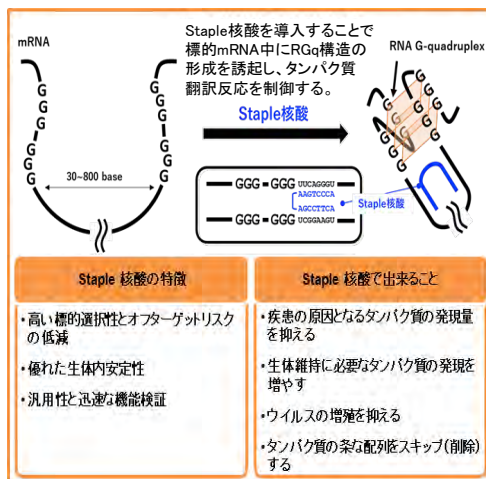
第3回AMED-FLuX(令和3年10月)にて、
・技術が生かせる疾患
・企業との共同研究を見据えて取得すべきデータ
・特許戦略
について、相談

追加配賦により、
・技術の活用範囲の拡大(企業ニーズに即した疾患に対する追加データ取得等)
・特許出願

第9回AMED-FLuX(令和5年5月)にて、
・第3回以降の研究成果を踏まえた今後の開発戦略
・他の核酸医薬との優位性を示すために必要なデータ
について、相談

研究計画の変更により、
・企業ニーズに即したin vivoデータの追加取得
企業連携に向けた活動(BioJapan2023 AMEDアクセラレーションピッチ参加)

企業導出



◆ AMED-FLuX「創薬ガイドブック」の概要

「創薬研究を実施するにあたり、知っておくと役立つこと」をコンセプトに、アカデミア研究者広く利用いただき、アカデミア創薬力の向上を目指す。

- ① 創薬標的分子の探索・検証、バイオマーカー、スクリーニング
 - ② 非臨床試験(薬効薬理、安全性、代謝・薬物動態等)
 - ③ 構造最適化、DDS、製造
 - ④ 研究計画
 - ⑤ 臨床開発(医師主導治験)
 - ⑥ 知財取得
- 薬効の高い化合物を取得する、あるいは取得できる可能性を示す
- In vitroでのがん細胞パネルでの感受性評価において低濃度域(サブマイクロモルからナノモル)で作用する強力な阻害活性を有することが重要である。
・化合物の選択性を担保するために**カウンターアッセイ**を実施し、他の分子には作用していないことを確認する。▼複数の分子について確認するパネル結合試験は委託試験もある。
- In vivoで腫瘍の増殖抑制ではなく、**腫瘍縮小効果**までも確認できていることが望ましい。また、PK-PDを確認し、該当化合物のin vitroプロファイルからin vivoで有効性を示す濃度域まで曝露が到達しているのか確認する。
- 知財取得
- 標的分子
 - マーカー
 - 薬効
 - 優位性
 - 安全性

「アカデミア研究者のための、創薬分野におけるTranslational Researchの専門用語ハンドブック」にて用語の検索可能

URL: https://www.amed.go.jp/program/list/11/01/amed-flux_index.html

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



R5年度評価＋見込評価

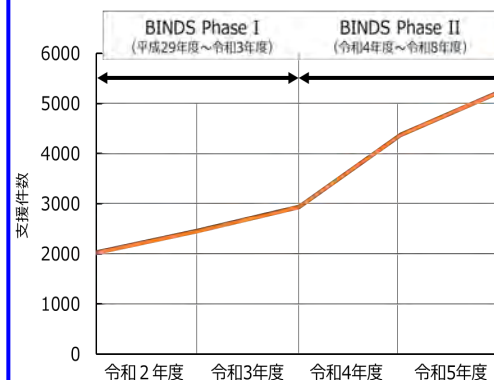
※中長期計画期間としての主要事項: 青字、令和5年度実績: 下線付き、主要事項かつ令和5年度実績: 青字下線

- 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ため、令和2、3年度には、「基盤技術」を疾患研究へ応用するための仕組みを構築した。また、令和4、5年度には、調整費を活用した課題間連携により、先端的バイオ医薬品や薬物送達(DDS)等に関する「基盤技術」と「シーズ開発」とをマッチングし、基盤技術の高度化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。これらの取組により、シーズ側が抱える問題の解決等に繋がり、これまでに企業導出(令和3年度: 1件)を達成するとともに、シーズ側の研究開発課題が、より実用化に近い研究開発フェーズを対象とした事業に採択(令和5年度公募: 3件、令和6年度公募: 1件)される等、次の展開に進む研究開発課題が認められた。
- 国費に頼らないAMED独自の取組として、寄附金を原資として、若手創薬研究者育成を目的とした留学支援事業を令和2年度に創設。令和5年度までに12人の若手研究者の留学を支援した。

③ 技術支援基盤の充実により、研究開発の加速に繋がる成果が得られた。

- 創薬等先端技術支援基盤プラットフォーム(BINDS)において、令和2年度にBSL3施設にクライオ電顕を整備し、その後、利用環境整備を継続的に行うなど、研究ニーズに即した支援基盤を充実をさせることで、令和2年度から令和5年度までの間に3221件と、多数の支援を実施した。また、令和5年度には、クライオ電顕を活用して、世界で初めて生きた新型コロナウイルスの観察に成功し、将来パンデミックが起きた際に感染症ワクチン・治療薬の開発に活用可能な基盤技術を見出した。

◆ BINDS 支援基盤の拡充による成果



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

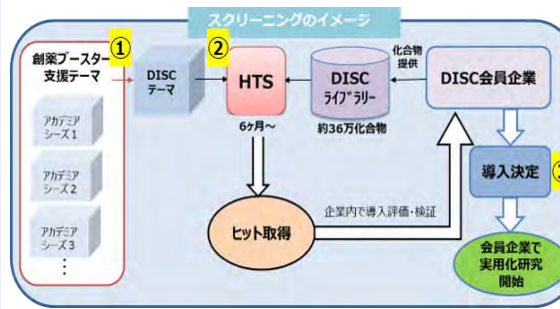


R5年度評価＋見込評価

※中長期計画期間としての主要事項: 青字、令和5年度実績: 下線付き、主要事項かつ令和5年度実績: 青字下線

・創薬総合支援事業(創薬ブスター)では、製薬企業出身の創薬コーディネーターが、実用化の可能性が高い大学等の創薬シーズを目利きし、当該シーズを企業が導入判断するために必要なデータを取得する研究計画設定と、その遂行に向けた伴走支援を行っている。令和2年度から令和5年度にかけて8件(うち1件は令和5年度)が企業導出に繋がったが、特に産学協働スクリーニングコンソーシアム(DISC)の仕組みを用いてスクリーニングを実施した6課題のうち、3課題が4社への導出に繋がった。

◆ 創薬ブスターによるアカデミア発創薬シーズの支援 ～企業化合物を利用したスクリーニング(DISC)の導出事例～

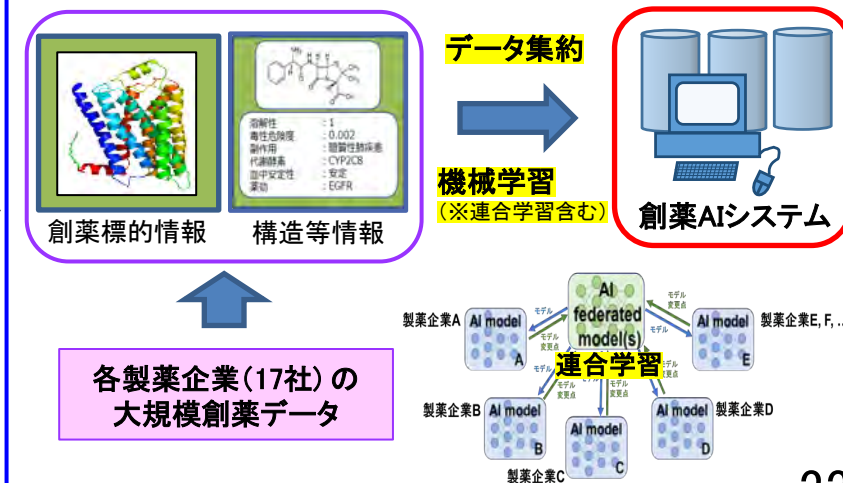


- ① 創薬コーディネーターが実用化可能性の点で目利きした創薬ブスター支援テーマのうち、スクリーニングに適したテーマを選定。
- ② 各シーズに適したアッセイ系を構築した後、製薬企業が提供した実践的な化合物を用いてスクリーニング
- ③ 得られたヒット化合物を企業が評価し導入。企業において実用化研究を開始

④ 多様なステークホルダーとの共同により、新たな創薬分野や新規モダリティ等の研究開発を推進した。

・次世代創薬AI開発(DAIIA)では、日本製薬工業協会との緊密な官学連携により、製薬企業17社が保有する大規模な社外秘の創薬情報を用いて、産学の創薬現場で活用でき、有望な新規化合物設計が可能な統合創薬AIプラットフォームを構築している。令和2年度から4年度にかけて企業提供データの受け取りとその学習を行い、試作AIを用いた評価を行った。また、令和5年度には、製薬業界と密に情報交換しながら、製薬企業が安心してデータ提供を行えるよう、各社の情報セキュリティポリシー、データの提供方法、ネットワーク環境等に応じた連合学習運用環境の整備及びセキュリティ強化を行った。この取組に賛同した10社を越える製薬企業より、秘匿性の高いデータを広く集約することができ、高精度なAI創薬モデルの構築が可能となった。

◆ 産学連携による次世代創薬AI開発(DAIIA)



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

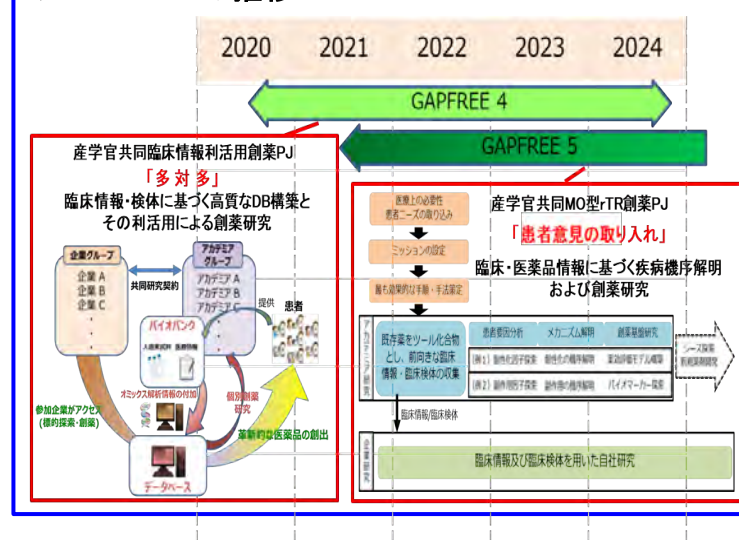


R5年度評価＋見込評価

※中長期計画期間としての主要事項: 青字、令和5年度実績: 下線付き、主要事項かつ令和5年度実績: 青字下線

- 産学官の共同研究を推進するGAPFREEプロジェクトにおいて、複数のアカデミア及び企業が参画し、非競争領域の基盤研究を推進する「多対多」の新たな枠組み(令和2年度)や患者参画(PPI)からの視点と医療ニーズを踏まえたミッションを設定して研究開発を行う枠組み(令和3年度)など、産業界の視点とニーズに呼応した枠組みを構築した。
- 企業、PMDAや厚労省と適宜意見交換しながら、ペプチド、核酸医薬やエクソソーム等の新規モダリティの品質・有効性・安全性に係る適切な評価手法の開発と標準化及びガイドラインの作成を支援することで、レギュラトリーサイエンス研究を推進してきた。その結果、令和5年度には、世界に先んじて、ペプチド医薬品の品質評価及び非臨床安全性評価に係るガイドライン案を作成するなど、多様なステークホルダーのニーズにかなう成果が得られた。

◆ GAPFREEの推移



⑤ 医療ニーズに即した研究開発を迅速かつ適切に推進することで、実用化に繋がる成果が得られた。

- 世界的な感染拡大が懸念されるエムボックスについて、厚労省と協議の上、世界保健機関(WHO)の緊急事態宣言(令和4年7月23日)に先んじて、病態解明から診断法・治療法の開発まで、感染症対策に資する幅広い研究開発の公募を実施した(令和4年7月13日公募開始)。課題採択後には、合同班会議を実施して、各研究開発課題の情報共有を密に行うなど、エムボックスの流行に備えた研究開発を推進した。
- 患者数が少なく企業での開発が進まない小児領域や希少難治性疾患の研究開発を促進するため、令和4年度には小児領域を対象した公募枠や、令和5年度には希少難治性疾患の中でも特に患者数の少ない「超希少難治性疾患」を対象とした公募枠を新設した。また、希少難治性疾患等のアンメットメディカルニーズに対する治療薬等、医療ニーズに即した研究開発の支援を継続的に実施し、PMDA戦略相談の指摘事項等を踏まえた進捗管理等、適切かつ丁寧な伴走支援を行った結果、薬事承認に至った課題(令和4年度に2件、令和5年度に4件)も見られた。

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

① 医薬品プロジェクト

R5年度評価＋見込評価



【評価指標】		①令和2年度～5年度末迄の 累積達成状況	進捗	② ①のうち、令和5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)	168件	○	47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)	8件	○	1件
	3	臨床POCの取得 5件(1件/年)	31件	○	4件
	4	新モダリティ・先進手法に関する採択課題の割合 75%	82.2%	○	85.9%
	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	15件	○	7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: 153件 うち 新規採択: 108件 うち ステージアップ: 25件 うち 支援継続: 49件 うち 支援終了の課題: 104件	○	支援を行った課題: 77件 うち 新規採択: 33件 うち ステージアップ: 6件 うち 支援継続: 49件 うち 支援終了の課題: 28件
	7	創薬等の効率化に資する 先進手法の開発状況	課題160以上を採択	○	今年度10課題以上を新たに採択
【評価指標】		①令和2年度～5年度末迄の 累積達成状況	進捗	② ①のうち、令和5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)	174件	○	39件
	9	薬事承認(新薬、適応拡大) 10件(2件/年)	28件	○	5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)	239件	○	37件
	11	研究成果を活用した臨床試験・治験への 移行状況	36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

R5年度評価＋見込評価



※中長期計画期間としての主要事項: 青字、令和5年度実績: 下線付き、主要事項かつ令和5年度実績: 青字下線

① 早期実用化を実現するための課題マネジメントの強化

「実用化プログラム」※を運用開始

※医工連携イノベーション推進事業で実績を上げた伴走支援の取組を、他事業へも展開するために導入した仕組

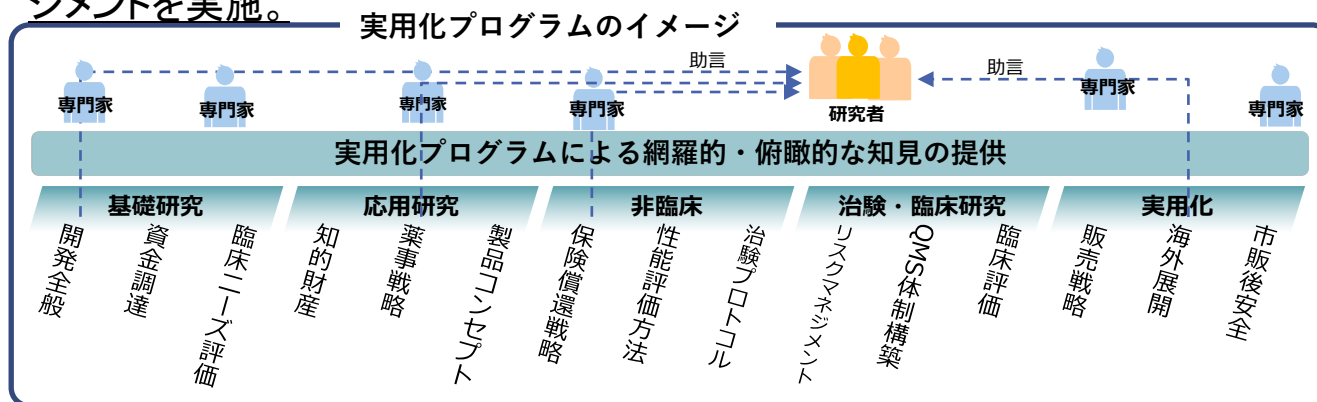
令和3年度に「実用化プログラム」を整備し、令和5年度までに採択40課題及び不採択25課題の計65課題を対象に延べ77回、研究代表者に対して事業化に向けた多角的な助言を行い、研究開発課題の実用化を推進。具体的には、開発中の製品コンセプトに係る客観的な評価、薬事承認に向けた詳細なプロセス構築、保険償還価格の考え方、海外展開に向けた戦略構築の方法等、それぞれの研究者が抱えている課題や予見困難な問題等に関する助言を実現。アンケート結果によると95%の研究者が「良かった」と回答する等満足度が高く、「基礎研究の段階から実用化に向けたコンセプトづくりが重要であることが理解できた。」「研究内容に合わせた具体的な薬事申請や保険償還に係るアドバイスをいただき、今後の研究開発の方向性が明確になった。」等の前向きなコメントを多数得ている。

中間評価見直しやPMDAとの連携等を通じ課題マネジメントを強化

令和5年度からは中間評価の運用見直しや、PDPSP0会議での課題管理の重要性に係る共通認識の醸成等を通じて課題マネジメントを強化。ステージゲートを含む機動的な中間評価による早期の研究中止(令和5年度13件)等により限られたリソースを有効活用。さらにPMDAとの連携を通じ、研究の初期段階から適切なタイミングで相談できる関係を構築し、早期実用化へ向けた効果的な課題マネジメントを実施。

実用化プログラムの取組実績(累計)

所管省庁	実用化プログラムを適用した事業	コンサルティング適用済課題数(うち公募不採択課題数)
経産	官民による若手研究者発掘支援事業	9
	若手研究者によるスタートアップ課題解決支援事業	1
	医療機器等における先進的研究開発・開発体制強化事業	14 (8)
	医工連携イノベーション推進事業	4 (3)
PJ 2	文科 医療機器等研究成果展開事業	2
	厚労 医療機器開発推進研究事業	10 (3)
	革新的がん実用化研究開発事業	1
PJ 6	循環器疾患・糖尿病等生活習慣病対策実用化研究事業	2 (1)
	文科 橋渡し研究プログラム	22 (10)
計	9事業	65 (37)



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

R5年度評価＋見込評価



※中長期計画期間としての主要事項: 青字、令和5年度実績: 下線付き、主要事項かつ令和5年度実績: 青字下線

② 医療機器及びヘルスケア関連機器等の上市を見据えた実用化支援の推進

- 上市に向けた支援の一環として海外展開を目指す事業者への支援を新たに提供
令和5年度にMEDICA(ドイツ/例年11月)への出展を3年ぶりに再開するとともに、Arab Health(UAE/例年1月)へ初出展し、AMEDブースに海外展開を目指すスタートアップやベンチャー企業等の事業者(計10社)が成果PRできる場を提供。MEDICAでは約600人、Arab Healthでは約1000人の来訪者がAMEDブースを訪れ、各企業と活発に意見交換を行っていた。出展事業者からは、海外でのニーズ調査や成果の実用化に向けた情報収集、海外メーカーとの製品改良等に向けた活発な意見交換を行うなかで、「日本ブランドへの信頼が感じられた。」「海外においてニーズがあることが分かった。」「CEマーク取得、FDA承認が得られたら連絡をとる約束をした。」「論文の請求や共同研究の提案があった。」等、パートナー候補企業とのマッチングへの手応えを感じられる感想を得た。令和6年度には新たに東南アジア地域へ出展し、取組を強化。



Arab Health 2024におけるAMEDブース

- 政策ニーズの高い技術や新しいサービスの早期社会実装に向けた機運向上と新たなマッチングの機会を創出
近年のAI・IoT技術等の発展を受け世界的な産業へ発展することが期待・注目されている医療機器プログラム(SaMD: Software as a Medical Device)の開発及び利用促進を図るため、令和4年度に「SaMDフォーラム」(11月)、令和5年度に「SaMDサブフォーラム」(2月)を主催。また、サービス開発・普及のための制度が未成熟なヘルスケアサービスについて、科学的なエビデンスに基づいた提供・利用を促進するため「予防・健康づくり領域の社会実装に向けたシンポジウム」を令和3年度から毎年度主催し、意見交換・ネットワークの機会を提供。令和6年度には当プロジェクト初となる成果報告会を開催することで、VCや製品化を担う企業等とのマッチング機会を提供する等、早期実用化に向けた取組を更に強化。



第3回 予防・健康づくり領域の社会実装に向けたシンポジウム

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

R5年度評価＋見込評価

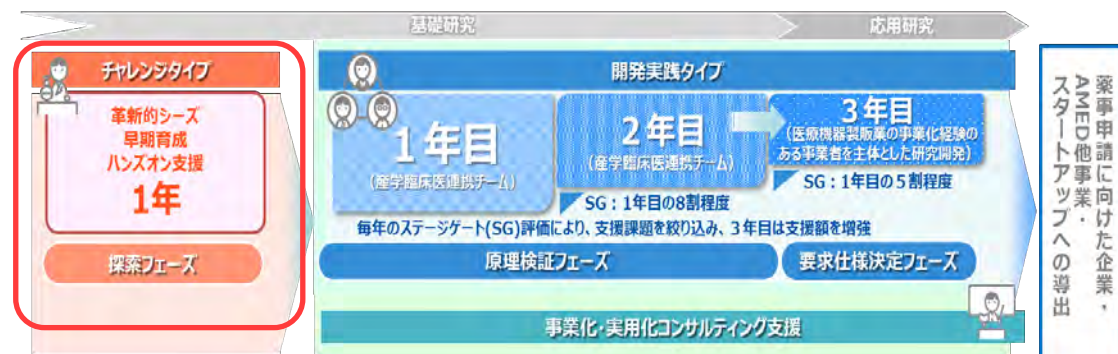


※中長期計画期間としての主要事項: 青字、令和5年度実績: 下線付き、主要事項かつ令和5年度実績: 青字下線

③ 社会的ニーズに柔軟に対応した事業設計の推進

● 若手及び女性研究者等を対象とした新たな公募枠を新設

医療機器開発に情熱を持つ若手等の人材育成を通じたシーズの水準向上が喫緊の課題となったことから、アカデミアにおいて尖ったシーズを有するものの、医療機器開発のノウハウが十分でないチャレンジングな提案を積極的に支援するため、令和4年度に若手研究者及び女性研究者等を対象とした新たな公募枠を調整費を活用して創設し、令和5年度以降は当初予算としての支援を実現。



医療機器等研究成果展開事業におけるチャレンジ枠の創設

● 研究開発におけるRWD(リアルワールドデータ)の活用を促進

医療機器の研究開発において、本邦のレジストリを活用し、治験を行わずに医療機器の適用拡大を目指す初の事例として、RWDの収集(レジストリ構築)を行う公募枠を新設し1件を採択。また、ヘルスケア分野においても、製品やサービス等の効果検証面におけるRWDの活用が期待されていることから、行動変容介入等非薬物介入におけるエビデンス構築のための研究デザイン確立に向けた取組に加え、令和6年度には更なる取組として、サービスの社会実装に向けたエビデンス構築にRWDを活用するモデルケース実証を目指した、RWDを用いた研究開発に特化した公募枠を新設。

● スタートアップ企業に対する支援を強化

ヘルステック領域におけるスタートアップ・エコシステムを構築し、スタートアップ企業によるイノベーションの牽引を加速させるため、起業を目指すアカデミアや民間企業に所属する研究者・研究職を対象に、研究開発支援に加え、事業化に向けた伴走支援、ピッチ開催等を通じたVC等とのマッチング支援などを実施。また、あらゆる出口を見据えた臨機応変な支援を実現するため、令和6年度からは研究開発途中においてSaMD、Non-SaMD間で公募枠間の移動を可能とする仕組を構築。

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

R5年度評価＋見込評価



※中長期計画期間としての主要事項: 青字、令和5年度実績: 下線付き、主要事項かつ令和5年度実績: 青字下線

④ヘルスケア研究開発の推進と社会実装に向けた基盤整備の推進

・ 予防・健康づくり介入の指針策定および新たな研究アプローチ法の研究を支援
科学的エビデンスに基づくヘルスケアサービスの健全な発展を目指し、予防・健康づくりにおける重要10領域で、医学会による指針策定を支援。また、ヘルスケアサービスの提供者、利用者が参照可能な多面的価値評価基準、評価指標、研究デザインの開発を推進し、研究開発の基盤構築に着手。さらにPPIの視点から、サービスの提供者及び利用者を指針策定の初期段階から巻き込むことで、分野間・課題間連携に加え、ステークホルダー間での機運醸成、成果物の社会実装を推進(Mindsワークショップ、シンポジウム開催等)。

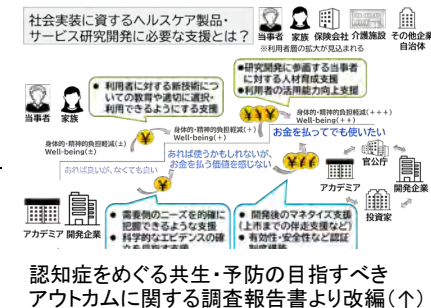
・ ヘルスケア領域のエビデンス構築を支援
ヘルスケア領域のうちエビデンス構築を特に促進すべきとされている認知症について、認知症基本法で進める「共生」と「予防」に関する研究プログラムを新設し、7課題を採択。また、健康アウトカムに加え、サービス対価の支払者に訴求する価値やアウトカムについて、利用者、開発者、支払者、研究者等を対象に調査を進め、今後構築すべきエビデンスを明確化。

・ ヘルスケア版「実用化プログラム」の導入に向けた試行を実施
疾患の重症化予防や疾患管理・ケア等のためのデバイス・ソフトウェア開発に対する支援に加え、その社会実装促進に向けた取組を更に強化するため、令和6年度にはヘルスケア領域のビジネスモデルで求められる研究開発要素を明確化し、当該要素に対する支援を強化した伴走支援を試行。第三期中長期計画期間(令和7年度)からの本格運用を予定。

・ ロボット介護機器の海外展開を推進
介護現場の課題解決を目指し、介護する側の生産性向上・負担軽減、介護される側の自立・社会参画の促進に資するロボット介護機器の開発と環境整備を推進。また、ロボット介護機器の海外展開を推進するため、海外での上市を目指した課題を3件採択した。



第3回 予防・健康づくり領域の社会実装に向けたシンポジウム(R6.2.13)(↑)



認知症をめぐる共生・予防の目指すべきアウトカムに関する調査報告書より改編(↑)

事前調査資料 | 第 1 期

2. ロボット介護機器を巡る動向 | (2) 介護機器の定義・分類とロボット介護機器の該当する事例

※ 実用化に向けた介護機器に該当しない重点分野機器は、検査・診断(非侵襲型)、見守り・コミュニケーション、介護業務支援である。

重点分野機器	介護機器	検査・診断(非侵襲型)	見守り・コミュニケーション	介護業務支援
歩行支援機器	歩行支援機器	歩行支援機器	歩行支援機器	歩行支援機器
歩行支援機器	歩行支援機器	歩行支援機器	歩行支援機器	歩行支援機器
歩行支援機器	歩行支援機器	歩行支援機器	歩行支援機器	歩行支援機器
歩行支援機器	歩行支援機器	歩行支援機器	歩行支援機器	歩行支援機器
歩行支援機器	歩行支援機器	歩行支援機器	歩行支援機器	歩行支援機器
歩行支援機器	歩行支援機器	歩行支援機器	歩行支援機器	歩行支援機器
歩行支援機器	歩行支援機器	歩行支援機器	歩行支援機器	歩行支援機器
歩行支援機器	歩行支援機器	歩行支援機器	歩行支援機器	歩行支援機器
歩行支援機器	歩行支援機器	歩行支援機器	歩行支援機器	歩行支援機器

在宅向けロボット介護機器海外展開支援事前調査報告書(↑)

株式会社 FUJII
開発事業者ノウハウ集(→)

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

R5年度評価＋見込評価



【評価指標】		①令和2年度～5年度末迄の 累積達成状況	進捗	②①のうち、令和5年度 の達成状況
ソフトウェア	1 ○シーズ研究に関する指標 ・非臨床POCの取得件数 25件(5件/年)	77件	○	32件
	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%	37%	○	49%
	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(7件/年)	27件	△	9件
【評価指標】		①令和2年度～5年度末迄の 累積達成状況	進捗	②①のうち、令和5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(3件/年)	50件	○	27件
	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(4件/年)	7件	△	3件
	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(2件/年)	7件	△	1件
	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	70件	○	11件

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

R5 年度評価	<p>①再生・細胞医療及び遺伝子治療の基盤体制と事業の設計を深耕し、各事業においてシーズ技術の社会実装を加速させるための事業化、知財、規制、製造を支援する体制を構築・推進し、再生・細胞医療と遺伝子治療の融合を推進した。</p> <p>②AMED内外との連携により、実用化を推進する新たな機会や体制の充実を図った。</p> <p>③国産のウイルスベクター産生細胞樹立など戦略的な研究開発の加速と社会への発信を実施した。などに取り組み、</p> <p>④すべてのKPIにおいて大きく進展した。</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>
評定	
自己評価 a	

見込評価	<p>再生・細胞医療・遺伝子治療開発協議会(以下、協議会)及び再生・細胞医療・遺伝子治療研究の在り方に係る検討会(以下、在り検)の討議並びに関連府省との連携により、再生医療と遺伝子治療を一体化した事業を設計し、推進した。再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト内の各事業において、再生・細胞医療に加え遺伝子治療に関連する技術課題を融合し推進するサブプログラムを設計し、多くを開始した。</p> <p>①再生・細胞医療とin vivo遺伝子治療を一体化し、基盤体制と事業を再構築した。</p> <p>②所管省と連携した課題支援体制強化施策の立案と遂行を実施した。</p> <p>③再生医療技術ツールとして医薬品開発へ展開した。などに取り組み、</p> <p>④多くのシーズが臨床での有効性を実証する段階に移行し、すべてのKPI目標を大きく超過達成した。</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>				
評定					
自己評価 a					
		R2	R3	R4	R5
自己評価	a	a	a	a	
主務大臣評価		A	A	A	
					42

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



R5年度評価＋見込評価

※中長期計画期間としての主要事項: 青字、令和5年度実績: 下線付き、主要事項かつ令和5年度実績: 青字下線

① 再生・細胞医療と遺伝子治療の「融合」の推進

● 再生・細胞医療及び遺伝子治療の基盤体制と事業の再構築

協議会(R02開始)等における検討に協力、検討結果を踏まえ、所管府省と連携して、再生医療と遺伝子治療を一体化した事業※1を設計し、推進した(R05)。特に、在り検(R02～R04)の検討では、AMEDは再生医療実現拠点ネットワークプログラム(以下、NWP)の成果とりまとめや次期事業スキームの提案等で貢献した。中核拠点の構築や、遺伝子改変細胞による治療を目指した課題の増加により、再生・細胞医療と遺伝子治療の「融合」が進展しつつある。

※1:再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム(以下、加速P)、再生医療等実用化研究事業(以下、実用化事)、再生医療等実用化基盤整備促進事業(以下、基盤整備事)、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)

● 新たな出会いのきっかけとなる場の創出

R05 AMED再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト研究交流会を、コロナの影響により自粛していた対面形式で4年ぶりに開催し、プロジェクト全課題間の交流を促進した。

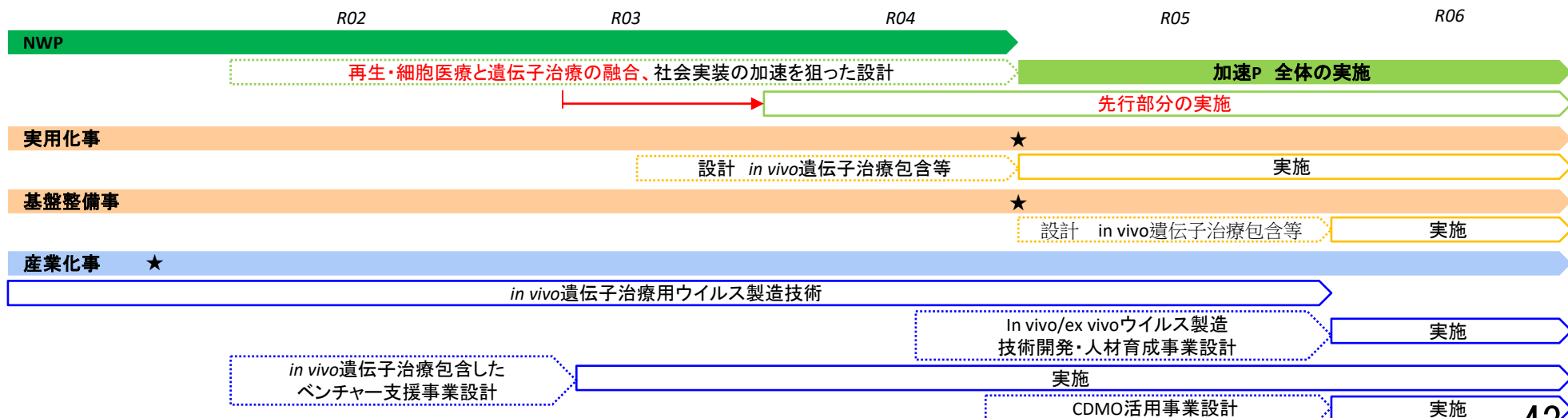


図1 再生・細胞医療と遺伝子治療の融合を目指した事業

★事業名称変更

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



R5年度評価＋見込評価

※中長期計画期間としての主要事項: 青字、令和5年度実績: 下線付き、主要事項かつ令和5年度実績: 青字下線

② 基礎研究の成果をベースに「実用化」を推進

● 企業導出を加速させるための部門間連携による産学連携の推進

R05は実用化推進部との協働で、再生医療等製品関連での民間資金獲得を推進すべく、産学連携のマッチングの機会を大きく増加させた(JVHS 3件、DSANJ 6件、BIO Partnering at JPM 2024 1件、JST新技術説明会 6件)。

● アカデミアに対して早期に規制対応を促すためのPMDAとの新たな連携の取組

上記研究交流会にPMDAにも参加いただき、個別相談を26件実施した(R05)。

● 関連3省と連携して課題推進の隘路となっているベクター製造支援の充実強化

基礎的なシーズを臨床フェーズに進めるにあたっての現状の課題を踏まえ、加速P(再生・細胞医療・遺伝子治療研究実用化支援課題)でアカデミア向けにGMP準拠非臨床用ウイルスベクターを製造・提供できる環境を整備し(R04補正、R05補正で追加)、製造先とのマッチング課題(R05開始)を推進した。臨床フェーズに対しても基盤整備事でFIH向け設備整備を公募した。また、産業化事でベンチャー等シーズのCDMOを通じた製造プロセス開発強化の仕組の検討を進めた。

● 研究シーズの社会実装を推進する支援体制の充実

加速Pでは、新設の伴走支援課題と連携して特許等申請の実施例補強に必要な追加実験、調査等の追加支援を実施した(R05)。

表1 各事業でのシーズ研究の支援		事業化	知的財産	規制	製造
加速P 基礎～非臨床	規制・社会実装支援課題(非臨床PoC段階対象)	Target Product Profile (TPP) 開発企業等マッチング	周辺を含めた技術領域網羅調査 周辺特許強化	規制・法令面の助言 PMDA相談対応等	—
	事業化戦略支援課題(基礎応用段階対象)	企業マッチング	基本特許強化、関連調査	—	—
	試験製造支援課題	—	—	製造規制への対応	製造先マッチング、再現性確認
	ベクター製造課題	—	—	製造規制への対応	設備整備、受託製造
基盤整備事 臨床	再生医療ナショナルコンソーシアムの充実	産学連携支援	知財セミナー	臨床研究支援	—
	再生医療等推進モデル病院の充実	—	—	PMDA相談対応等	治験用製品製造受託
	ベクター製造支援(R06開始)	—	—	製造規制への対応	設備整備、受託製造

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

R5年度評価＋見込評価

※中長期計画期間としての主要事項: 青字、令和5年度実績: 下線付き、主要事項かつ令和5年度実績: 青字下線

● 再生医療技術ツールとした創薬への展開

委託調査(R02)により、エコシステム構築に向けた企業等ニーズの収集、バンク充実及びその利活用の促進枠組みの必要性等を把握したうえで加速P(疾患特異的iPS細胞を用いた病態解明・創薬研究課題)を設計・開始、AMED-Flux(創薬事業部)への参画・連携を進めた(R04 FS実施、R05詳細設計)。また、調整費の活用等により産業化事で新たな創薬支援ツールとなるMPS(Microphysiological System)を推進した。

③ 戦略的な国産技術の研究開発の推進と社会への発信

● 調整費等を活用し国産のウイルスベクター産生宿主細胞開発の研究開発を加速し、シングルクローン株樹立

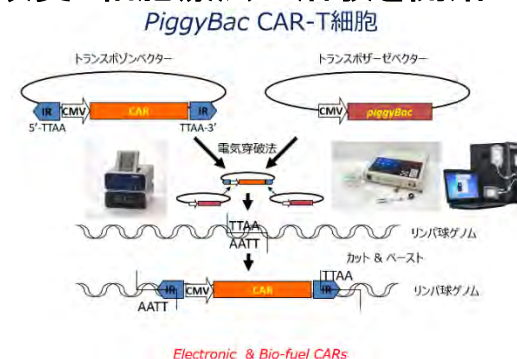
産業化事(遺伝子治療製造技術開発、R01～R05通常予算)では、調整費等を活用し、ウイルスベクター等の製造・品質評価に係る多くの技術等の企業への移管(随時)、欧米の規制と同等の品質評価技術の開発、国産のウイルスベクター産生宿主細胞のシングルクローン株樹立(R05)、人材育成拠点BECRET内へのウイルスベクター製造分野に必要な設備の付与(R04)と育成プログラム稼働(R05)等を実施した。

● 調整費による研究開発の拡充によって、ウイルスを使用しない日本独自の遺伝子改変T細胞療法の治験を開始

CD116陽性急性骨髄性白血病および若年性骨髄単球性白血病を対象とする非ウイルス遺伝子改変GMR CAR-T細胞(R03)、HER2陽性の再発・進行骨・軟部肉腫と婦人科悪性腫瘍を対象とする非ウイルス遺伝子改変HER2 CAR-T細胞(R04)、EPHB4受容体発現のユーイング肉腫又は固形がんを対象とした非ウイルス遺伝子改変CAR-T細胞療法(R05)が医師主導治験を開始した(図2)。

● 研究開発成果の社会への発信に取組

再生・細胞医療・遺伝子治療研究開発パンフレット作成、AMED再生・細胞医療・遺伝子治療公開シンポジウム開催(R05参加登録者数;約1,400名)を継続した。



Electronic & Bio-fuel CARs
図2 PiggyBac遺伝子改変技術によるCAR-T細胞の作製

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

R5年度評価＋見込評価

※中長期計画期間としての主要事項: 青字、令和5年度実績: 下線付き、主要事項かつ令和5年度実績: 青字下線

○ 承認

- 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(図3、R03)。
- NWP(再生医療の実現化ハイウェイ、技術開発個別課題)、実用化事業、再生医療の産業化に向けた評価基盤技術開発事業で支援したドナー角膜組織由来の培養ヒト角膜内皮細胞が再生医療等製品として承認された(図4)。

○ 治験、臨床研究の進展

- 治験に移行した研究課題数は35件(うち遺伝子治療16件)、R05 8件(1件)と目標を大きく上回った。
- 臨床研究に移行した課題数は15件(1件)、R05 3件(0件)。iPS細胞から作製した角膜上皮を4人の患者に移植する世界初の臨床研究が有効性が期待できる結果で完了した(図5)。

○ 企業導出

- 企業へ導出される段階に至った研究課題数は累積50件(導出済み28件)、R05 12件(7件)と目標を大きく上回った。疾患iPS、MPS等の複数技術で構築される創薬支援ツールでの導出、1シーズで異なる複数疾患への導出等が見られる。

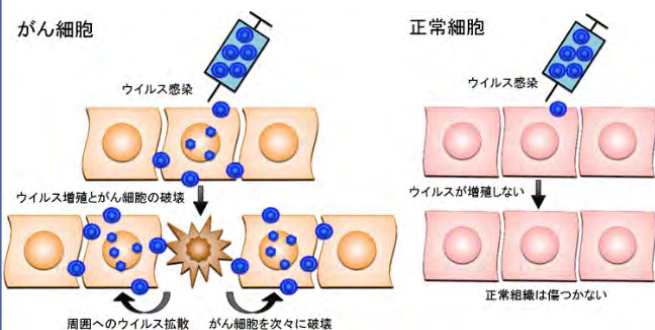


図3 ウィルスによるがん治療の仕組み

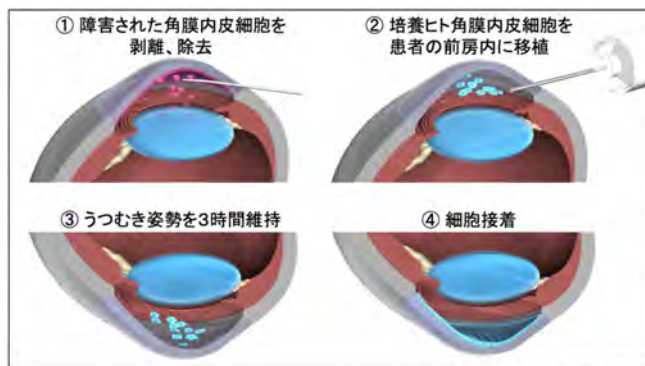


図4 水疱性角膜症を対象とするドナー角膜組織由来の培養ヒト角膜内皮細胞の概念図



図5 iPS細胞から作製した角膜上皮を4人の患者に移植する世界初の臨床研究が完了

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

R5年度評価＋見込評価

【評価指標】		①令和2年度～5年度末迄の累積達成状況	進捗	②①のうち、令和5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)	105件(57件)	○	26件(17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	565件	○	115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)	35件、57課題(16件、20課題)	○	8件、21課題(1件、2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 ※クラリベイト InCites Benchmarkingより集計	564件	○	125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)	15件(1件)	○	3件(0件)

【評価指標】		①令和2年度～5年度末迄の累積達成状況	進捗	②①のうち、令和5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	63件	○	21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)	50件(10件)(企業へ導出された件数 28件)	○	12件(1件)(企業へ導出された件数 7件)
	8	薬事承認件数(新薬、適応拡大) 2件以上	5件(先進医療B2件、医療機器1件)	○	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	18件	○	7件(ISO/TC 276 WG3および4、ISO/TC 48、ICH Q5A(R2)専門家作業部会(EWG)、ISSCRヒト幹細胞の研究利用に関する基準策定等)
	10	研究成果を活用した臨床試験・治験への移行状況(臨床研究を含む)	50件	○	治験移行8件、臨床研究移行3件に加え、海外治験開始1件、臨床研究でのiPS由来細胞の生着性確認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	162件	○	日本発AAV産生宿主細胞のシングルクローン株樹立等に繋がる製造関連要素技術開発が進展(産業化事でベクター作製、大量製造、精製、製品評価等の29件)。

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

④ゲノム・データ基盤プロジェクト



R5 年度評価	<p>AMED研究開発で生み出される多様なデータを連携させ、可用性を高めたデータ基盤の構築を目指し、主導的に重要なルールの方針策定、システム構築及びサービス体制等を確立した。また機動力のある新事業の立ち上げなどを行った。</p> <p>① 「AMEDにおける研究開発データの取扱いに関する基本方針」等を策定し、公開した(令和3年度)。</p> <p>② AMEDデータカタログの発信を開始した。(令和4年度)</p> <p>③ 「AMED説明文書用モデル文案」を策定し、公募要項にこの文案を適用することを記載した。(令和5年度)</p> <p>④ 各ゲノム・データ拠点間を繋ぎワンストップで利用を可能とするAMEDデータ利活用プラットフォーム(呼称: CANNDs)の第1弾のサービスを開始した。(令和5年度末)</p> <p>⑤ AMEDデータ利用審査会をAMED内に設置した。(令和5年度末)</p> <p>また、「ゲノム研究を創薬等出口に繋げる研究」として、最先端のゲノム研究等を、機動的に調整費を複数年に渡り措置するなどの特色ある事業を立ち上げた。この事業の成果であるデータも、公開などの利活用に資する仕組みとしている。</p> <p>上記の通り、AMED独自のマネジメント能力が発揮されたことに加えて、KPIは4年間で目標を大きく達成していることから、全体として顕著な成果の創出や取組が認められる。</p>
評 定	
自己評価 a	

見込評価	<p>ゲノム・データ基盤の整備を進め、がん・難病等の全ゲノム解析や多因子疾患研究を加速するとともに、コホート・レジストリ、質の高い臨床情報等を活用した実用化研究の成果を創出した。</p> <p>【成果例】</p> <p>① がん・難病全ゲノム解析等実行プログラムやバイオバンク等の支援を通じてゲノム・データ基盤を整備し、利活用研究を推進した。</p> <p>② リアルワールドデータ解析により、IgA腎症の非侵襲的重症化・予測指標を見出した。</p> <p>③ ゲノム解析の医療技術としての有用性を確認した。</p> <p>④ 中央診断システム活用により小児とAYA世代のT-ALL患者の標準的治療法を確立した。</p> <p>⑤ 臨床研究を加速させ、国産の高精度X線治療装置やラジオ波焼灼法が薬事承認となった。</p> <p>⑥ 非劣性試験により、精神疾患のオンライン診療が対面診療と同等の治療効果な事を証明した。</p> <p>⑦ 異分野融合やプロジェクト間連携での成果創出に向けた取り組みを加速した。</p> <p>上記例のように質の高い臨床情報に付加価値の高いデータを付加するなどのアプローチも重要である。特に令和6年度以降の研究課題には、「AMED説明文書用モデル文案」が適用され、研究終了後のデータ利用審査もAMEDが実施を可能とすることから、第3期に向けて民間を含めた利活用の推進が大いに期待できることから、全体として顕著な成果の創出や取組が認められる。</p>				
評 定					
自己評価 a					
		R 2	R 3	R 4	R 5
自己評価	a	a	a	a	
主務大臣評価	A	B	B		
					48

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

④ゲノム・データ基盤プロジェクト



R5年度評価＋見込評価

※中長期計画期間としての主要事項: 青字、令和5年度実績: 下線付き、主要事項かつ令和5年度実績: 青字下線

データ利活用を促進する文書と体制を整備、そしてデータ利活用基盤のサービスを開始

令和2年度よりオールジャパン体制で推進するデータ利活用基盤の構築を主導

令和4年度に三大バイオバンク（バイオバンク・ジャパン、東北メディカル・メガバンク計画、ナショナルセンター・バイオバンクネットワーク）の全ゲノム解析データを格納し、横断検索を可能とするAMEDデータ利活用プラットフォーム連携基盤のパイロット運用を開始

令和3年度末に、DMPに記載された各研究課題のデータ内容をとりまとめた「AMED研究開発データに関するカタログ」を公開、令和5年11月に第2版として更新

令和5年度は、AMEDデータ利活用プラットフォームの追加機能を開発し、三大バイオバンクの全ゲノム解析データについて、メタデータの横断検索から、研究計画立案のための予備的処理、データ処理を可能とするワンストップサービスの一般受付を開始

データ利活用基盤及び方策の整備

令和2年度

令和3年度

令和4年度

令和5年度

令和6年度

文書及び審査体制の整備

令和4年度より、研究開発で得られた個人情報を含むデータの第三者による利活用促進のため、「AMED説明文書用モデル文案」策定を主導的に進め、令和5年7月に第1版を公開

令和5年度は、主にAMEDデータ利活用プラットフォームを通して、AMED研究から生み出されたデータの利活用促進を見据えた規則や契約に係る文書を整備し、AMED内にデータ利用審査会を設置

令和6年度以降、人に関する研究開発において、研究参加の同意を得る際には原則、このモデル文案が適用

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



④ゲノム・データ基盤プロジェクト

R5年度評価＋見込評価

①がん・難病全ゲノム解析等実行プログラムやバイオバンク等の支援を通じてゲノム・データ基盤を整備し、利活用研究を推進

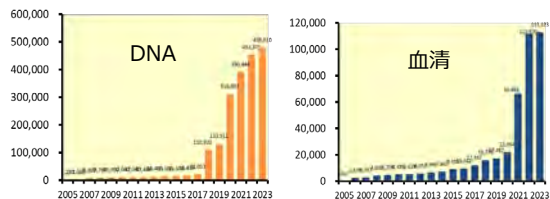
全ゲノム解析等実行計画に従い、がん・難病全ゲノム解析等実行プログラムを立ち上げ、ゲノム・データ基盤の整備を推進

- ・革新的がん医療実用化研究事業と難治性疾患実用化研究事業が連携し、精緻な臨床情報を有する患者の全ゲノム解析を推進し、全ゲノム解析プラットフォームの構築を進めた。
- ・さらにがんにおいては、病理画像情報の追加やがん種横断的な解析も可能とする体制を構築した。難病においては、詳細で正確な臨床情報を疾患横断的に収集する体制の構築や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利活用体制の構築を進めた。

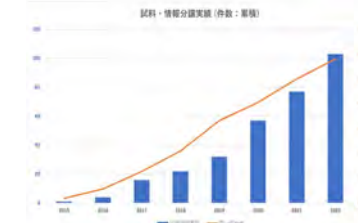
健康・医療情報に紐づくゲノム・オミックスデータの創出と利活用を推進する仕組みを整備

バイオバンクの利活用実績は、AMED第1期(H27年度～R1年度)と第2期途上(R2年度～R6年2月末時点)を比較した場合、生体試料(DNA、血清、血漿)および臨床情報・ゲノム情報が、バイオバンク・ジャパンにおいて3.6倍および12.4倍、東北メディカル・メガバンクにおいて1.4倍および13.5倍、それぞれ増加し、特に臨床情報・ゲノム情報の利活用が加速している。

バイオバンク・ジャパンのDNA、血清分譲実績(検体数)【2023年11月末現在】



東北メディカル・メガバンクの試料・情報分譲実績(件数)【2023年3月末現在】



・日本腎臓学会等の協力の下で構築された、リアルワールドデータ(電子カルテ情報を自動的に抽出するオールジャパンの疾患レジストリ)を、AIを用いて解析し、希少疾患でもリアルワールドエビデンスが得られることを証明した。

2つの省の事業を一体化させ、PS及びPOの進捗管理に基づき調整費を複数年に渡り措置するゲノム基盤活用研究を推進

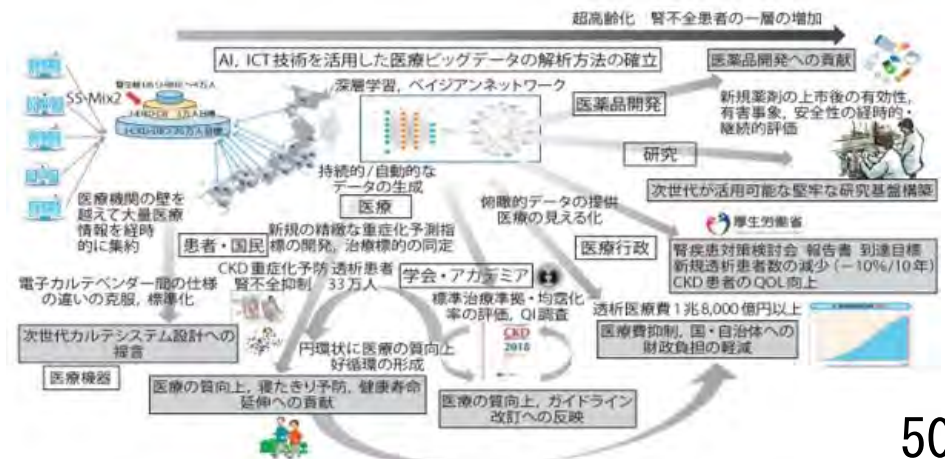
特に令和5年度において、広範な疾患やモダリティを対象とし、異業種・異分野連携による新たな研究体制のもと、これまでに構築したゲノムデータ基盤を利活用して創薬等に繋げる研究プログラムを設計し、公募により15課題を採択した。令和6年度は、PS及びPOによる進捗管理を踏まえて年度当初より調整費を措置する予定である。



- 一体化
 - ✓ 課題管理
 - ✓ PS及びPO体制
 - ✓ 課題評価委員会

- 産学連携
 - 創薬ベンチャー
 - AIベンチャー
 - 製薬企業
 - 医療機器企業

②リアルワールドデータ解析により、IgA腎症の非侵襲的重症化・予測指標を見出す～血尿が腎予後の予測因子に～



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

④ゲノム・データ基盤プロジェクト



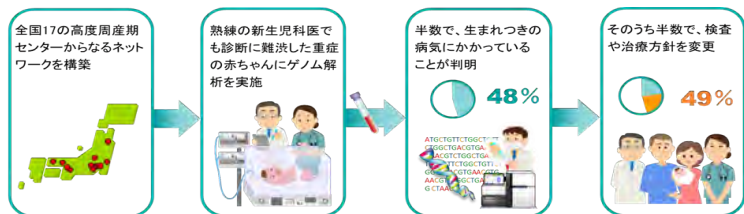
R5年度評価＋見込評価

※中長期計画期間としての主要事項：青字、令和5年度実績：下線付き、主要事項かつ令和5年度実績：青字下線

実臨床において、データベースの構築・充実やその利活用を通じた病態の解明、標準的治療法の開発、オンライン診療の治療効果検証、薬事承認に至る医療機器の開発等の研究開発を進め、新たな医療技術研究の実装化を加速した。研究で創出されたデータや研究体制は、次なる研究開発への利活用、展開が期待される。

③ゲノム解析の医療技術としての有用性を確認(令和3年度)

新生児科医と遺伝学研究者からなる全国チームがネットワークを作り上げ、従来の検査法では原因を決めることができなかった85名の重症の赤ちゃんに対して、ゲノム解析という新しい方法で原因の究明を試みた結果、約半数(41名)が生まれつきの遺伝性疾患にかかっていることが判明した。結果の判明したうちの約半数(20名)では、検査や治療方針の変更が行われ、このゲノム解析が新しい時代の医療技術として極めて有用であることを示した。



④中央診断システム活用により、小児とAYA世代のT-ALL患者が、全国の医療機関で治療可能に～T-ALL標準的治療法を確立～

小児と24歳までのAYA世代のT細胞性急性リンパ性白血病(T-ALL)患者を対象とした臨床試験により、全国的な治療の均てん化を果たした。R4年にデータ解析を行い、きわめて良好な結果が得られ、頭蓋放射線照射や同種造血細胞移植治療を受ける患者の割合も減少した。この成果はR6年末にガイドラインに掲載予定である

⑤国産の高精度X線治療装置の開発を進め、動体追尾照射臨床試験を通して薬事承認に

動的追尾VMATの有用性が示唆されたこと(R2年-4年)、動体追尾VMATの課題克服を目指したこと(R3年-5年)をきっかけに、日立製作所により高精度X線治療装置：Oxrayが開発され、国産装置では2011年以來の薬事承認(2023年7月)となった。

国内外への急速な装置の普及が期待される。



OXRAY (2023/7/19)

⑥非劣性試験(国内19機関)より、精神疾患(うつ・不安症・強迫症)のオンライン診療が、対面診療と同等の治療効果であったことを証明

複数の精神疾患(うつ病、不安症、強迫症)に対するオンライン診療を用いた治療効果が、対面診療と比較して劣らないことが、国内初の無作為比較試験(非劣性試験)で明らかになった。



ePRO, electronic patient reported outcome; HAMA, Hamilton Anxiety Rating Scale; HAMD, Hamilton Depression Rating Scale; SF36MCS, MOS 36-Item Short-Form Health Survey Mental component summary; YBOCS, Yale-Brown Obsessive Compulsive Scale

⑦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、外部への情報発信を行いつつ、今後の取組に向けた素地づくりを推進(令和3年度)

- ・無形の医療技術データを医療システム(手術指導ガイドライン, 人材育成等)へ還元(令和4年度)

- ・メディカルアーツ研究事業(R2年度新設)において、外科領域における無形の医療技術のデータ化を進め、開発した外科的的手法の評価システム等を手術指導ガイドライン等へ反映
- ・医工学関係の学会に継続的に参画し、支援課題が工芸技術と融合する機会を増やすとともに、公募の活性化に繋がった。

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

④ゲノム・データ基盤プロジェクト

R5年度評価＋見込評価



【評価指標】		①令和2年度～5年度末迄の累積達成状況	進捗	②①のうち、令和5年度の達成状況	
アウトプット	1	非臨床POCの取得 5件(1件/年)	7	○	2
	2	臨床POCの取得 10件(2件/年)	21	○	9
	3	研究成果の科学誌(IF5以上)への論文掲載件数 900件(180件/年)	1452 ※	○	353 ※
	4	新たな疾患発症メカニズム解明件数 10件(2件/年)	51	○	17
	5	新たな疾患関連遺伝子・薬剤関連遺伝子の同定数 25件(5件/年)	150	○	19
	6	データ基盤構築の状況(連携、解析体制を含む)	31	○	8
	7	アカデミア及び企業によるデータ基盤の利活用実績	328	○	125
	8	研究成果の科学誌(IF5未満等の他の科学誌)への論文掲載状況	2224 ※	○	495 ※

【評価指標】		①令和2年度～5年度末迄の累積達成状況	進捗	②①のうち、令和5年度の達成状況	
アウトカム	8	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(5件/年)	51	○	8
	9	臨床的に実用可能なバイオマーカー等の開発件数 15件(3件/年)	22	○	5
	10	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(1件/年)	8	○	3

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

※クラリベイト InCites Benchmarkingより集計

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



⑤ 疾患基礎研究プロジェクト

R5 年度評価	<p>これまでの延長線上にないシーズを育む、循環型研究を支える基盤の構築を目指し、異分野連携や双方向トランスレーショナルリサーチの枠組み整備に取り組んだ。</p>
評 定	<p>①PJ内横断的な枠組みとしてAMED-LINKを創設、異なる疾患・事業間連携の更なる研究基盤強化を図った。</p>
自己評価	<p>②「ワクチン開発・生産体制 強化戦略」で求められているモニタリング体制の強化に資する体制整備(新興・再興感染症研究基盤創生事業)、脳科学作業部会での提言を受けた新規事業の実施体制構築(脳神経科学統合プログラム)、第5次がん研究10か年戦略に対応した事業体制の見直し(革新的がん医療実用化研究事業)など、様々な疾患領域での双方向トランスレーショナルリサーチの更なる推進に向けた体制整備を行った。</p>
a	<p>③評価指標の達成に向けて顕著な進捗が見られる。</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>

見込評価	<p>より大きな成果の一刻も早い創出、実用化を目指し、循環型研究を支える基盤構築と、これまでの延長線上にないシーズを育むと共に、研究開発成果の導出等のすべての評価指標を大幅に上回る成果を挙げた。</p>					
評 定	<p>①統合PJを越えた異なる疾患・事業間連携による成果創出と研究基盤強化を図った。</p>					
自己評価	<p>②きめ細やかなPSPOによる進捗管理に基づき、国際連携機会の最大限の活用や適時の追加支援等を行うことにより、国際的に高い価値を有する研究の導出を促進した。</p>					
a	<p>③「ワクチン開発・生産体制 強化戦略」に基づく体制整備等、様々な疾患領域で、双方向トランスレーショナルリサーチの更なる推進に資する枠組み構築に取り組んだ。</p> <p>④多様な価値観に基づく研究開発基盤の構築を目指し、各事業内での現状把握・分析を行った上で、公募要領の工夫を行う等の仕組み作りを通じ、若手研究者育成・ダイバーシティ推進を実施した。</p> <p>⑤評価指標の達成に向けて顕著な進捗が見られる。</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>	自己評価	R2	R3	R4	R5
		主務大臣評価	A	A	A	
						53

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

⑤ 疾患基礎研究プロジェクト

R5年度評価＋見込評価

※中長期計画期間としての主要事項: 青字、令和5年度実績: 下線付き、主要事項かつ令和5年度実績: 青字下線

① 統合PJを超えた異なる疾患・事業間連携の更なる発展による成果創出と研究基盤の強化

・ 新型コロナウイルス感染症による血管炎・血栓症に着目した異分野事業合同での公募の企画(令和2年度)

新型コロナウイルス感染症による血管炎・血栓症に着目し、令和2年度に、2つの異分野事業合同で病態解明研究公募を企画した。進捗を見つつ適時に調整費措置を行い、重症化の一因として血管老化の関与可能性を同定(令和4年7月)、重症例での腸管内免疫機構の異常発生機序を解明(令和4年8月)等、病態解明に資する様々な成果を得た。更に令和4年度には調整費を措置して、新たな問題となっているlong COVID等に関する病態解明を推進し、異分野間のみならず基礎・臨床の研究者が連携した共同体制の下、臨床検体を最大限に活用した解析により、long COVIDにおける症状遷延及び血管内皮障害に関わる可能性のある新規因子を同定するなどの成果を得た。

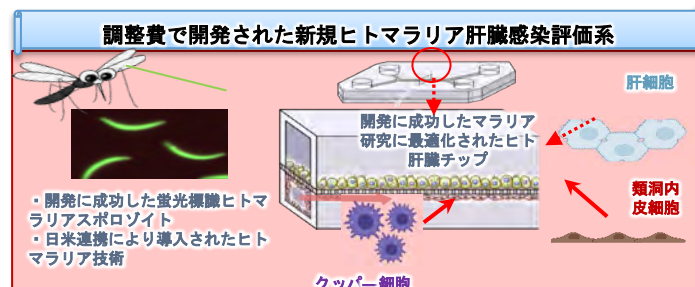
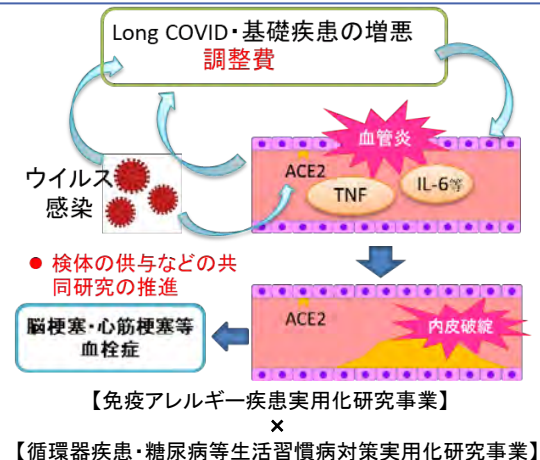
・ PJ⑥AMED-CREST連携

新興・再興感染症研究基盤創生事業(多分野融合領域)や脳とところの研究推進プログラムでは、PJ⑥AMED-CREST事業の関連領域と最新の研究成果などの情報共有を行うことで、効果的に成果創出するための研究基盤を強化した。新興・再興感染症研究基盤創生事業では、連携を図った19の研究班のうち9研究班がPJ⑥の研究班との共同研究につながった。AMEDとしては効果的な成果創出を目指し、以下の取組の工夫を行った。

- 多分野融合とAMED-CRESTでPSPOの兼務を設け、両事業を網羅的に見渡す課題進捗管理が可能な体制としている。
- 多分野融合とAMED-CREST双方において公募要領に連携推進を明記することで、採択後の研究交流の機会が両事業の研究者に周知された。
- キックオフ会議等に両事業の研究者が参加できる形式とし、資料に連携提案等を盛り込んで情報共有を図った。
- 具体的連携提案がまとまったマッチング課題には、迅速な追加支援を行った。
- PJ⑤PJ⑥の事業担当者間で密にコミュニケーションをとった。
- マッチングされた課題間では共同研究への進展があり、有望な連携を調整費申請へとつなげた。

・ 調整費措置・共同研究事例

令和5年度には、上記のPJ⑥AMED-CREST連携の取組をきっかけとして開始した、世界中で需要の高いマラリアワクチン等の開発を目指し、ヒトマラリア原虫と肝臓チップを組み合わせた「ヒトマラリア肝臓感染評価系」の開発についての異分野融合型の共同研究に対し、調整費を措置して推進した。その結果、ヒト初代培養肝細胞を播種した肝臓チップを作出し、その際に、肝臓由来血管内皮細胞の播種方法を比較することで隙間なくPET膜を覆う方法を確立した。また、ヒト熱帯熱マラリア原虫GSPに対する抗体を用いて、スポロゾイトが血管内皮細胞層の通過、さらに肝細胞に寄生するステップを阻害する評価系を確立するに至った。これらの結果は第90回日本寄生虫学会大会(令和6年3月)で発表され、今後論文発表を予定している。



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

⑤ 疾患基礎研究プロジェクト



R5年度評価＋見込評価

※中長期計画期間としての主要事項: 青字、令和5年度実績: 下線付き、主要事項かつ令和5年度実績: 青字下線

① 統合PJを超えた異なる疾患・事業間連携の更なる発展による成果創出と研究基盤の強化(続き)

・ AMED-LINK(疾患基礎研究推進会議)の創設

令和4年度から計5回、疾患基礎研究プロジェクトPDPS会議を開催。若手研究者の育成や事業間連携など共通の課題について問題意識の共有や異分野間の目線合わせを図った。

令和5年度には、更なる異分野間の連携を目指し、疾患基礎研究プロジェクトのPDPSにPOを加え、「バイオマーカー」のテーマのもとに全事業から推薦を募り、研究者とさまざまな疾患分野の有識者(PDPSP)が意見交換する場「AMED 疾患基礎研究推進会議(AMED-LINK)」を立ち上げた(令和5年11月、12月会議開催)。

開催後のアンケート結果によると、意義があったという回答が約9割を占め、専門性を超えて、これまでは話題にならなかったテーマでの議論ができたことが研究者から評価された。今回の議論をもとに、この新しい制度を発展すべく、改善提案、検討事項を精査し、必要な取組を進めていき、異分野融合を深め、挑戦的な研究開発を目指す予定である。

・ 成果展開事例

リキッドバイオプシーによるゲノム解析の臨床的有用性を証明(革新的がん医療実用化研究事業)

→PJ1に導出し、複数の医師主導治験を経て薬事承認に至る成果等が創出された。

(臨床研究・治験推進研究事業、革新的がん医療実用化研究事業)

- ▶ PSPOによる成果報告会や班会議への参画等を通じたきめ細やかな進捗把握、事業内サポート拠点の活用、PO-担当会議等を通じた密な情報共有や支援判断等、事業全体でマネジメントの工夫を行う中、消化器がんの治験におけるがん遺伝子変異スクリーニング検査手法として、血液を用いたリキッドバイオプシーが、従来の腫瘍組織検査と比較して、より短期間で精度も同等程度であり、更に治験登録割合が大幅に増加することを証明した。(令和2年度)。
- ▶ 本研究成果により有効性と妥当性が示された、治験参加患者を判断するための簡便で侵襲の少ない手法として、その後複数の医師主導治験に導出、以下の成果導出につながった。

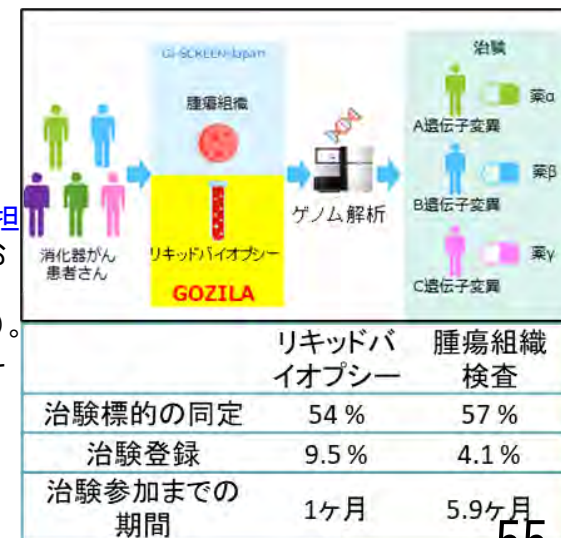
- ・アンメットメディカルニーズであるHER2陽性大腸がんに対する、ペルツズマブとトラスツズマブの併用療法の有効性検証(令和3年11月に有効性が示され、令和4年3月に薬事承認)
- ・大腸がん手術後の再発リスク測定、術後化学療法の要否判定(令和5年1月)

疾患基礎研究推進会議 AMED-LINK

Leading Interdisciplinary research for Next generation's Knowledge



- ▶ AMED疾患基礎研究プロジェクトのさまざまな疾患分野の有識者(PD PS PO)と研究者の意見交換
- ▶ 共同研究 や 別分野公募への展開
- ▶ 研究開発成果の臨床応用や他疾患への展開の一助へ



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



⑤ 疾患基礎研究プロジェクト

R5年度評価＋見込評価

※中長期計画期間としての主要事項：青字、令和5年度実績：下線付き、主要事項かつ令和5年度実績：青字下線

② 国際的に高い価値を有する研究の導出

・ 日英ニューロサイエンスシンポジウムへの研究者参加支援・国際連携推進

神経科学分野では第一期に締結したAMEDと英国MRCとの覚書(MOC)に基づき、令和4年度には認知症研究を対象とした国際公募(SICORP)が実施されるとともに、更なる共同研究・発展を目指して、コロナ禍で中断していた日英ニューロサイエンスシンポジウムを再開、令和4年度に日本、令和5年度には英国Cardiffで開催した。本シンポジウムをきっかけに若手研究者の英国留学・派遣に繋がり、複数の共同研究が始動した。

・ 研究成果の創出事例(3事例)

- きめ細かなPSPOの進捗管理を通じ、パーキンソン病や認知症の原因タンパク質である α -シヌクレインシードを血液検査で検出し、さらに疾患ごとに構造や性質が異なり、疾患の鑑別に有用であることを明らかにした(令和5年5月)(図1)。侵襲性の低い診断手法として今後の臨床活用性が非常に期待される成果である。
- HBVのレセプターNTCPとHBVリガンドPreS1の複合体の立体構造を決定(令和6年1月)。創薬プロセスを大きく加速できる成果であり、調整費を活用して、その知見を応用した新規メカニズムに基づく抗HBV薬の開発を推進した。その結果、他分野の研究者との共同研究を開始しin silico screening解析を進めている。
- 国際共同研究において世界の胃がん患者の大規模ゲノム解析を行い、日本人に特徴的な新規ドライバー遺伝子の可能性を見い出した。調整費措置で成果導出の充実を図り、総計1,457例の世界最多となる胃がんゲノム解析により、新規を含め合計77個のドライバー遺伝子を特定し、日本人胃がんにおける治療標的・バイオマーカーの全体像を解明した(令和4年)。(Totoki, Y. et al., Nature Genetics 2023)。

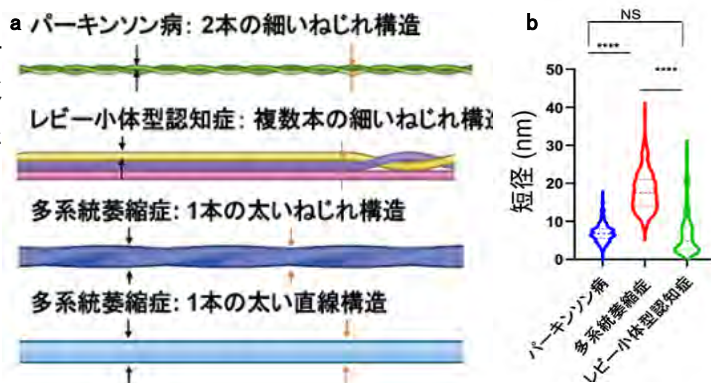
③ 双方向トランスレーショナルリサーチの更なる推進

・ 新興・再興感染症研究基盤創生事業の感染症モニタリング体制の整備

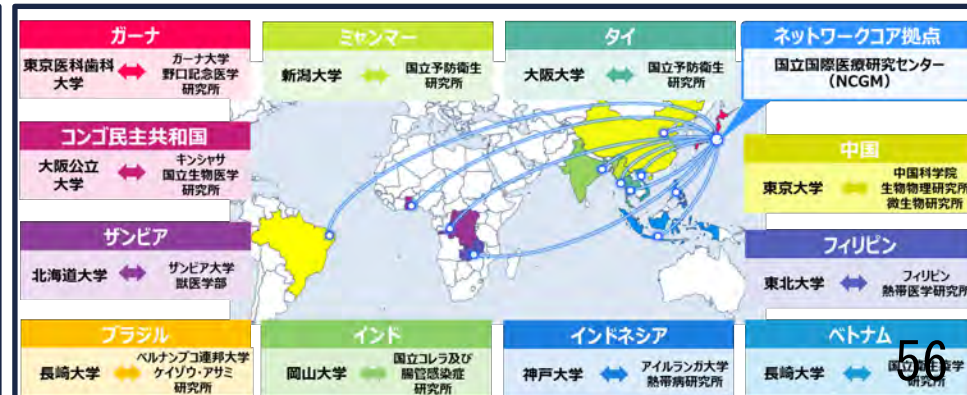
令和4年度には、海外研究拠点の感染症情報収集及びネットワーク体制強化を目指し情報収集及び調査分析を実施し、有識者会議を設置して報告書を取りまとめた。令和5年度には、次のパンデミック対応を視野に入れた予見性を重視し、報告書を基に文部科学省と協議を重ねて新規公募を行い、これまで拠点が存在しなかった南米大陸に新たな拠点(ブラジル)を設置、世界11カ国にまたがる感染症モニタリング体制を整備した(図2)。AMEDとしては、体制構築過程で各国間でも相互議論と理解が円滑に進むよう取り組んだ。

図2. 感染症モニタリング体制及びネットワーク調整基盤強化

図1
各 α -シヌクレインパチーにおける血清由来 α -シヌクレインシードを用いて「IP/RT-QulC法」にて増幅した凝集体の構造の違い



a: 凝集体の模式図
b: 各凝集体の太さの比較



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

⑤ 疾患基礎研究プロジェクト



R5年度評価＋見込評価

※中長期計画期間としての主要事項: 青字、令和5年度実績: 下線付き、主要事項かつ令和5年度実績: 青字下線

③ 双方向トランスレーショナルリサーチの更なる推進(続き)

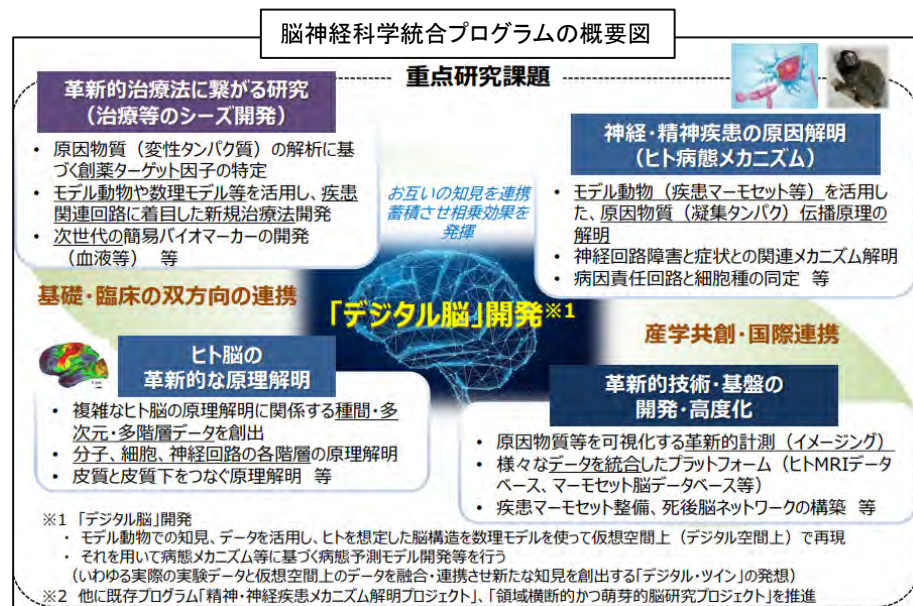
- ・ **脳神経科学統合プログラムの整備等**
事業の改組等にあたり、当該事業の成果や課題等について取りまとめ、後継事業の立ち上げなど、関係府省に協力した。令和5年度には、脳科学分野において、補正予算により迅速に公募を行い、中核拠点を採択して研究を開始した(令和6年3月)。実験手法のWet及びDryの融合、基礎と応用の相互連携のさらなる強化を目指し、関係府省とも協議を重ね、専門分野はもとより、基礎と臨床、アカデミアと企業等といった観点からも多様な背景を有するPSPO・課題評価委員の選定・委嘱を図った。

④ 若手育成・ダイバーシティ推進による多様な価値観に基づく研究開発基盤の構築

- ・ 従来より大きい予算額の研究費に、若手研究者が早期から挑戦できる門戸を広げる試みとして、年齢等の条件を設けずに公募を実施し、採択時点で一定割合の若手を優先して採択する新たな仕組みを導入。結果として優先することなく、当初定めた割合の若手研究者が採択された(令和3年度:脳科学分野、令和4年度:感染症分野)。
- ・ 令和5年度には、ダイバーシティ推進の新たな取組として、感染症分野の令和6年度公募において、「若手・女性枠」(若手研究者もしくは女性研究者を対象)を導入。従来よりも女性研究者の応募数が増加し、結果として若手かつ女性研究者4名が採択された(右表)。

⑤ 評価指標の達成に向けて顕著な進捗が見られる

- ・ 科学誌(IF5以上)への論文掲載:[令和5年度] 650件、[累積] 2,506件
- ・ 他の統合プロジェクト等への導出:[令和5年度] 16件、[累積] 26件



エイズ対策実用化研究事業の公募における応募課題(採択課題)の性別人数の推移
・ 過去2年間の女性研究者の応募が1件/年のところ、5件の応募があった。

	R4年度	R5年度	R6年度
男性	16(9)	9(3)	20(7)
女性	1(0)	1(0)	5(4)
全体	17(9)	10(3)	25(11)

(単位:名)

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

⑤ 疾患基礎研究プロジェクト



R5年度評価＋見込評価

【評価指標】			①令和2年度～5年度末迄の累積達成状況	進捗	②①のうち、令和5年度の達成状況
アウトプット	1	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(80件/年)	2,506 件※	○	650 件※
	2	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	2,759件※	○	637 件※

※クラリベイト InCites Benchmarkingより集計

【評価指標】			①令和2年度～5年度末迄の累積達成状況	進捗	②①のうち、令和5年度の達成状況
アウトカム	3	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(2件/年)	26件	○	16 件

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



⑥ シーズ開発・研究基盤プロジェクト

R5 年度評価	<p>他機関や他事業とも連携を図り顕著な基礎研究成果を創出した。さらに拠点大学や臨床研究中核病院を中心とした実用化支援や臨床試験のマネジメント強化により、成果をもたらした。</p> <p>① 革新的なモダリティ創出につながる画期的シーズの創出に向け、他機関と領域分野の包括的な連携体制を新たに構築し、医工連携や異分野融合による独創的な共同研究の創出につなげた。</p> <p>② DCT(分散型臨床試験)実施に係る取組により国内外の臨床試験の実施基盤を強化した。</p> <ul style="list-style-type: none"> 臨床研究中核病院で構築された体制を活用してDCT(分散型臨床試験)実施の手順書の整備や模擬治験を実施することにより、DCTのノウハウを広く国内展開した。 アジア地域で整備した治験実施基盤ネットワークを活用し、国際共同DCTの環境を整備した。 <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>
評 定	
自己評価 a	

見込評価	<p>革新的なシーズの創出・育成を推進する基礎研究基盤構築や実用化に向けた伴走支援等を通じ、基礎から実用化まで一元的に研究開発を推進した。さらに、国内外にも通用する人材教育を推進し、国際連携にもつながる成果をもたらした。</p> <p>① 組織・分野の枠を越えた研究基盤の構築やPSPOの伴走体制の強化、事業間連携や国際連携の強化等の取組により、顕著な基礎研究成果を創出し、革新的なシーズを実用化に向けて展開した。</p> <p>② 橋渡し研究支援機関によるシーズ発掘・育成機能を強化するとともに、事業間・プロジェクト間連携により基礎研究成果を進展させ、研究開発早期から企業とのマッチングや事業化戦略の検討を開始することにより実用化を推進した。</p> <p>③ 治験の効率化、迅速化を目指し、臨床研究中核病院において構築したDCT(分散型臨床試験)実施体制やノウハウの国内への展開を進め、諸外国との人的ネットワーク構築に資する人材育成を強化するための公募を開始することにより、臨床試験の実施基盤を強化した。</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>					
評 定						
自己評価 a						
		R2	R3	R4	R5	
自己評価	a	a	a	a		
主務大臣評価		A	A	A		
						59

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

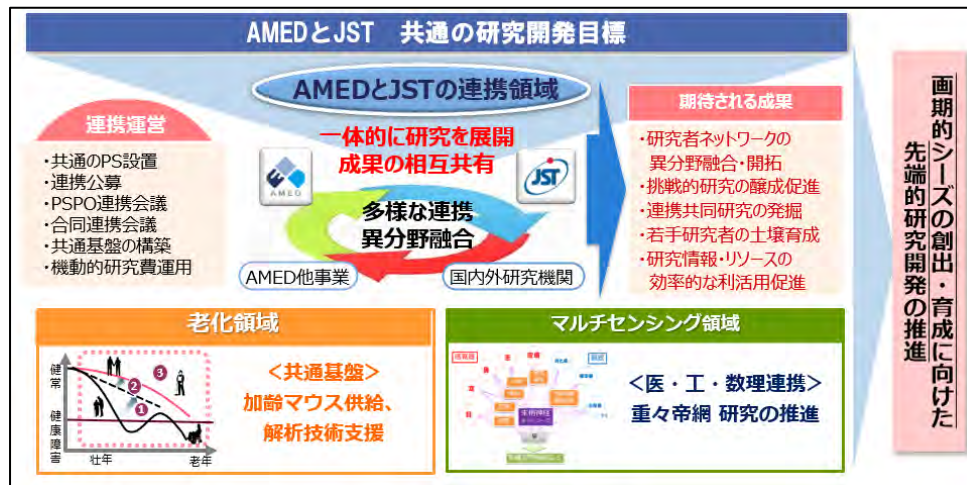
⑥ シーズ開発・研究基盤プロジェクト

R5年度評価＋見込評価

※中長期計画期間としての主要事項：青字、令和5年度実績：下線付き、主要事項かつ令和5年度実績：青字下線

①組織・分野の枠を越えた研究基盤の構築やPSPOの伴走体制の強化、事業間連携や国際連携の強化等の取組により、顕著な基礎研究成果を創出し、実用化に向けて展開

- マルチセンシングや老化研究分野の画期的シーズの創出を目指し、他機関との連携領域を立上げ、共通の研究開発目標の下、合同公募を実施し、領域包括的な視点で戦略的に課題を採択した(73課題)。さらに、合同会議等の開催、共有DXツールの立上げ、実験動物の供給や各種解析技術支援等の共通基盤構築に取組、医工連携、異分野融合を促進し、22課題の共同研究を創出した。
- 疾患基礎研究プロジェクト「脳とこころの研究推進プログラム」及び「慢性の痛み研究開発事業」等との連携推進ワークショップやJST、JSPSの複数の関連領域と合同シンポジウムを開催する等、組織や分野の枠を越えた連携により、多分野との情報共有や研究者間ネットワークの交流を促進し、12課題の共同研究を創出した。
- 日本のマイクロバイオームの基盤構築に向けて、データベースの整備や日本人標準腸内細菌カクテルを活用したシーケンスプロトコルの標準化を進めた。
- ファージを創薬モダリティとした新規感染症創薬の創出を目指し、疾患基礎研究プロジェクト「新興・再興感染症研究基盤創生事業」と連携し、米国への研究者派遣、技術習得・供与により、新規ファージを創成した。またピッツバーグ大学とのネットワークを活用し、日本では未実施のファージ療法の特定臨床研究の準備を進めた。
- LEAPでは、POに新たな企業経験者を加え、PMやPIの伴走支援体制の強化を図り、医薬品プロジェクト「創薬基盤推進研究事業」との連携等により、独自のmRNA医薬プラットフォームの構築やワクチン製造へ向けた研究開発を推進し、ベンチャーの起業や世界初のmRNAワクチン製造技術開発等の成果を創出した。



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



⑥ シーズ開発・研究基盤プロジェクト

R5年度評価＋見込評価

※中長期計画期間としての主要事項: 青字、令和5年度実績: 下線付き、主要事項かつ令和5年度実績: 青字下線

- 地球規模保健課題解決促進のための研究事業(日米医学協力計画)をはじめとした機構内複数事業のPSPO、研究者、AMED職員が参加する日米連携強化プランニングワークショップを米国NIAIDとともに企画・開催し、感染症分野における日米の研究者がより連携できるような将来的な取組・方向性を検討した。
- ② 橋渡し研究支援機関によるシーズ発掘・育成機能を強化するとともに、事業間・プロジェクト間連携により基礎研究成果を進展させ、研究開発早期から企業とのマッチングや事業化戦略の検討を開始することにより実用化を推進した。
- 橋渡し研究プログラムでは、異分野連携シーズの発掘を強化するため、異分野融合型研究開発推進支援事業において採択した5拠点合同でRA協会等での発表やシンポジウムを開催して医歯薬系以外の研究者やURAに事業の仕組みを周知し、5拠点で延べ362件を採択して支援を行った。
- 令和4年度に産学協働でPOC取得を目指すシーズFを新設して令和4～5年度に計10件を採択し、橋渡し研究支援機関とAMEDが連携してシーズFを支援するマネジメント体制を構築することにより、1課題について薬事承認申請に至る見込み。
- 令和5年度にはこれまでに構築してきた支援基盤を活かして医療系スタートアップを介して実用化を目指す課題への支援を強化するため、橋渡し研究支援機関を活用してスタートアップを支援する新規プログラムの事業設計を行い、既存の橋渡し研究支援の枠組みと連携して実施する体制構築を進めた。
- 橋渡し研究支援機関と臨床研究中核病院を「革新的医療技術創出拠点」として一体的に運営し、各拠点の拠点調査会議に他拠点も参加して特色や直面する課題を共有し、シーズ開発を途切れず実用化まで支援する仕組みを構築した。
- 橋渡し研究支援機関が発掘・支援するシーズについて、医薬品プロジェクトと連携して調整費を活用した共同研究の開始(12件)や創薬ブースターへの推薦(63件推薦、20件採択)、医療機器・ヘルスケアプロジェクトの実用化プログラムを活用して研究者と橋渡し研究支援機関のPMへ事業化に向けた助言の提供(計22件)により、実用化に向けた研究開発を加速・充実させた。
- 医療分野国際科学技術共同研究開発推進事業(地球規模課題対応国際科学技術協力プログラムSATREPS)のマラリア等の創薬研究では医薬品プロジェクトのAMED-FLuXにおいて実用化に向けた助言を受け、令和5年度に調整費を活用して研究開発を加速した。

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

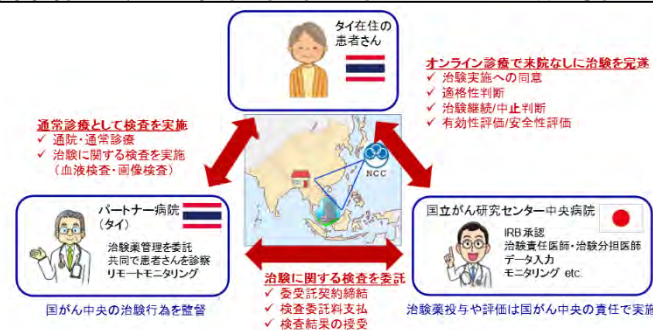
⑥ シーズ開発・研究基盤プロジェクト



R5年度評価＋見込評価

※中長期計画期間としての主要事項: 青字、令和5年度実績: 下線付き、主要事項かつ令和5年度実績: 青字下線

- ③ 治験の効率化、迅速化を目指し、臨床研究中核病院において構築したDCT(分散型臨床試験)実施体制やノウハウの国内への展開を進め、諸外国との人的ネットワーク構築に資する人材育成を強化するための公募を開始することにより、臨床試験の実施基盤を強化した。
 - 医療技術実用化総合促進事業では、令和5年度に慢性疾患患者を対象として来院に依らないDCTによる診断薬配達の手順書等を整備した。研究開発推進ネットワーク事業では、臨床研究中核病院で構築された体制を活用してDCT実施の手順書の整備や模擬治験を実施することにより、DCTのノウハウを広く国内展開した。
 - 臨床研究・治験推進研究事業「アジア地域における臨床研究・治験ネットワークの構築事業」では、アジア5か国・8施設と覚書等を締結し、タイ・フィリピンに連携オフィスを開設するなど治験実施基盤ネットワークを拡充、強化した。令和5年度にはタイ保健省と「国境を越えたオンライン治験推進」で覚書を締結し、日本在住医師にタイの臨時医師免許が発行され、国境を跨いだオンライン治験を実施する環境を整えた。
 - さらに医療技術実用化総合促進事業では、今後のパンデミック発生時に備えて、国際共同臨床試験の迅速な立ち上げを可能とする基盤の充実と諸外国との人的ネットワーク構築に資する人材育成を強化するため、令和5年度に欧米の国際共同臨床試験を実施する医療機関等への人材派遣を行う事業の公募を開始した。



【薬事承認事例】がん化学療法時に多発する口腔粘膜炎に対する新規口腔粘膜保護材の開発

がん化学療法中に発症する口腔粘膜炎は激しい痛みのため、生活の質(QOL)を著しく低下させる。本開発品は歯に充填することで接触痛の緩和を目指す。岡山大学拠点の支援を受けてサンメディカル株式会社、株式会社モリタと共同開発し、令和5年5月23日に製造販売承認取得した。

・岡山大学・大森 一弘
・橋渡し研究戦略的推進プログラム(シーズB、R2-R3)



商品名: ソフトプロテクターCPC (承認/認証番号: 30500BZX00107000)

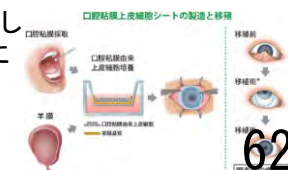


光重合型硬化機構を採用

【薬事承認事例】ヒト羊膜基質使用ヒト(自家)口腔粘膜由来上皮シートの製造販売承認

患者自身より採取した口腔粘膜組織から分離した細胞をヒト羊膜から調製した羊膜基質上に播種・培養して製造した口腔粘膜上皮シートを開発。先進医療を経て、京都大学拠点の支援により、難治性眼表面疾患患者を対象とした医師主導治験により有効性確認。導出先のひろさきII(株)において令和4年1月20日製造販売承認取得。

・京都府立医科大学・外園千恵
・橋渡し研究戦略的推進プログラム(シーズC、H29~R1)



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



⑥ シーズ開発・研究基盤プロジェクト

R5年度評価＋見込評価

【評価指標】		①令和2年度～5年度末迄の 累積達成状況	進捗	②①のうち、令和5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 ・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(110件/年)	1,567件※	○	401件
	2 ○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(34件/年)	127件	△	34件
	3 (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	1,094件※	○	371件

※クラリベイト InCites Benchmarkingより集計

【評価指標】		①令和2年度～5年度末迄の 累積達成状況	進捗	②①のうち、令和5年度の達 成状況
アウト カム	4 ○シーズ研究に関する指標 ・シーズの他の統合プロジェクトや企業等への導出件数 125件(25件/年)	379件 〔他の統合プロジェクトへの導出 196件〕 〔企業等への導出 183件〕	○	91件 〔他の統合プロジェクトへの導出 55件〕 〔企業等への導出 36件〕
	5 ○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(6件/年)	43件	○	12件

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. (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

R5 年度評価	<p>医療研究開発革新基盤創成事業(以下、「CiCLE」という。)は、平成28年度の第1回公募開始以来、公募・採択を積み重ね、<u>6課題が目標達成し、3課題から成果利用料を徴収した</u>。しかし、事業開始から8年が経過し、事業の成熟化に伴い、重点的に傾注が求められる支援内容が変化したことを受け、<u>運営・支援体制の拡充及び運用の改善を実施した</u>。</p>
評 定	
自己評価 a	<p>① 公募・採択・増額及び支援体制の拡充による事業の推進(①-2、①-3、①-4) ② 課題の目標達成及び支援終了課題からの成果利用料の徴収(②-2、②-3、②-4) ③ 運用規定の改善及び課題マネジメントによる社会情勢への対応(③-1、③-2、③-3)</p> <p>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。</p>

見込評価	<p>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 取り組む医薬品・医療機器等の研究開発及び、実用化の加速化等を革新する基盤を形成する環境整備を促進した。</p>					
評 定						
自己評価 a	<p>① 公募・採択・増額及び支援体制の拡充による事業の推進 (①-1、①-2、①-4) ② 課題の目標達成及び支援終了課題からの成果利用料の徴収 (②-1、②-2) ③ 運用規定の改善及び課題マネジメントによる社会情勢への対応 (③-1、③-4、③-5)</p> <p>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。</p>	自己評価	R2	R3	R4	R5
		主務大臣評価	A	A	A	
						64

I. (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



R5年度評価＋見込評価

※中長期計画期間としての主要事項: 青字、令和5年度実績: 下線付き、主要事項かつ令和5年度実績: 青字下線

① CiCLEの公募・採択・増額及び支援体制の拡充による事業の推進

- ①-1 令和2年度から令和4年度にかけて3回の公募を実施、申請課題の査読およびヒアリング審査を経たうえで、採択・評価会によって27課題を採択し、総額約411億円を支援した。

(単位: 億円)

	第5回公募(R2)	第6回公募(R3)	第7回公募(R4)	合計
応募数	72(54※ ¹)	57(38)	42(37)	171(129)
採択数	17(11)	5(3)	5※ ² (4)	27(18)
金額	322	49	40	411

※1: 括弧内はスタートアップ型(ViCLE)の件数
※2: 令和4年度の評価では7件と報告したが、令和5年度に2件が辞退したため5件に変更

- ①-2 研究開発実施中の課題について、早期事業化を促進する狙いから、実用化に近い治験を実施している課題を対象に、スタートアップ型ベンチャー企業を含む5課題に対して委託費(研究開発費)の増額を行い、研究開発を加速した。
- ①-3 倫理的・法的・社会的課題(ELSI)や研究への患者・市民参画(PPI)の視点を課題評価に導入すべく、新たにELSI、PPIに精通する有識者を課題評価委員に委嘱し、評価体制を強化した。また、多様な分野・開発段階の課題に対応すべくPOの人員及び構成の見直しを図り、課題の研究開発の特性を踏まえたよりきめ細かな課題管理を実施した。
- ①-4 課題の進捗管理及び伴走支援に加えて、PSPOへ情報提供及びAMED内の関係する部室へ情報を共有することを前提に最新の研究開発や技術動向(治験デザイン、DDS等)の調査を実施した。薬事審査の観点から有する科学技術調査員により全実施課題について問題点の抽出及び上市に向けた指導・助言を行い、効果的な課題管理に寄与した。

I. (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



R5年度評価＋見込評価

※中長期計画期間としての主要事項: 青字、令和5年度実績: 下線付き、主要事項かつ令和5年度実績: 青字下線

② CiCLEの課題の目標達成及び支援終了課題からの成果利用料の徴収

②-1 適切な課題管理と着実な伴走支援の連携により、研究開発等を効率良く推進し、以下の5課題の目標達成を確認した。

課題名	代表機関名	目標達成年度
液相セグメント合成法による核酸大量製造法開発	株式会社ナティアス	令和4年度
タンパク質構造解析のハイスループット化へ向けた装置開発	日本電子株式会社	令和4年度
造血幹細胞の体外増幅技術の開発と移植医療への応用	ネクスジェン株式会社	令和4年度
日本人がん患者由来 PDX ライブラリー整備	株式会社LSIメディエンス	令和2年度
創薬ライブラリーの共同管理・運用	イーピーエス株式会社	令和2年度
特殊ペプチド原薬CMO創設(参考)	ペプチスター株式会社	令和元年度



ハイスループットクライオ電子顕微鏡の実現へ

CRYO ARM 300 High performance cryo-EM

JADAS SerialEM Automatic data collection

K3 Highspeed direct detection camera

R-watch(仮) On-the-fly system

*単位時間あたりに撮影できる枚数の向上
*AIによる高速自動スクリーニング

日本電子(株)の研究開発成果
クライオ電顕(CRYO ARM300)

液相セグメント合成法

24機台

2ステップ(5プロセス)

- 最小のスケレオシドロス
- 極少の短鎖不純物
- 最短の製造プロセス

モノスケレオシド単位

使用するアリル型セグメント

(株)ナティアスの研究開発成果

ネクスジェン(株)

造血幹細胞

Colony Forming Unit
Granulocyte-Erythroid-Macrophage-Megakaryocyte (CFU-GEMM)

有核系前駆細胞
(顆粒球/赤血球)マクロファージ系前駆

Colony Forming Unit
Granulocyte Monocyte (CFU-GM)

顆粒球・単球系前駆細胞
(顆粒球/マクロファージ)

Erythroid Burst Forming Units (EBFU)

前駆赤血球系前駆細胞
(赤血球)

未分化

分化

ネクスジェン(株)の研究開発成果
ヒト造血幹細胞の生体外増殖培養液
出典: https://nextgem.jp/technology_program/

ペプチスター主要設備

ペプチド合成装置

ペプチド精製装置

ペプチド分析装置

ペプチド包装装置

ペプチド合成実績

ペプチド包装実績

ペプチスター(株)の成果(参考)

I. (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



R5年度評価＋見込評価

※中長期計画期間としての主要事項: 青字、令和5年度実績: 下線付き、主要事項かつ令和5年度実績: 青字下線

- ②-2 令和2-5年度、目標の達成により、事業化に至った合計3課題について、売り上げの1%に相当する成果利用料の納付を受けた。(前年度比20%増)
- ②-3 代表機関の事業化促進のため、公益財団法人大田区産業振興協会、医療AIプラットフォーム技術研究組合、AIを活用した製造業支援企業(株式会社クロスコンパス)等との意見交換会を開催(令和5年10月23日)し、CiCLE体制の支援強化の礎を築き、今後の連携協力に向けた展開を検討している。
- ②-4 ジャパン・ヘルスケアベンチャー・サミット2023(令和5年10月11日～13日開催)にて実用化推進部と連携してCiCLE課題(株式会社凜研究所、株式会社メトセラ)の普及広報活動を行い、資金調達に向けた支援を実施した。また、外部講師を招き、代表機関を対象に勉強会を開催(令和6年2月8日)し、研究開発の参考となる情報を提供することで代表機関が事業に対して多角的視野を持てるように支援した。

なお、本事業としてこれまでに67課題を採択しており、契約済みの委託費(研究開発費)総額約1,446億円、返済済み金額及び成果利用料徴収額の総額約126億円(委託費総額に対して約8.7%)との状況である。

また、本事業の参画機関(代表機関及び分担機関)における令和2年度から令和5年度までの新権利出願数は24件、論文発表は154件、事業開始(平成28年)から令和5年までの新権利出願数は41件、論文発表は174件である。

I. (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



R5年度評価＋見込評価

※中長期計画期間としての主要事項: 青字、令和5年度実績: 下線付き、主要事項かつ令和5年度実績: 青字下線

③ CiCLEの運用規定の改善及び課題マネジメントによる社会情勢への対応

③-1 事業開始から8年が経過し、事業の成熟化に伴い、重点的に傾注が求められる支援内容が変化したことを受け、委託費の増額等に関する運用規定等を改正し、5課題の委託費(研究開発費)の増額を実施した。また、代表機関が法人合併する場合のCiCLE課題の研究開発の承継手続、一時停止に係る手続の明示化等、運用規定を見直し、実施機関の利便性向上を図った。

③-2 CiCLE課題評価実施要綱を改定し、中間評価においては、評価結果に対し、代表機関から意見聴取する機会を設けることで、代表機関の自主性を尊重し、より公正な評価ができる制度とした。

③-3 代表機関とのコミュニケーションや知識の共有を推進するため研修交流会を実施するとともに、研修交流会の開催、PDCAサイクルにより継続的に運用・支援体制を改善する仕組みを検討した。

③-4 伴走支援は、課題の進捗を把握しつつ、状況に応じて個別具体的に対応を行った。特にスタートアップ型(ViCLE)課題を中心に薬事・知財・財務・資金調達・マーケティング等の支援を実施し、第2期中期計画開始から4年間で5課題を目標達成へ導いた。(事業開始から8年間で6課題の目標達成)

③-5 管理支援法人業務と伴走支援法人業務を統合し、支援業務を積極的に効率化し、費用を削減(契約金額1/4程度削減)した。当該削減分の活用により、研究開発に必要な基礎データを把握するための調査業務を拡充した。また、支援業務の複数年契約化により、途切れない伴走支援を実施した。

年度	調査業務
R2	新型コロナウイルス感染症に対する研究等の動向に関する調査
R3	令和3年度 橋渡し事業及びCiCLE事業のパートナーリングにおける製販企業意向に関する調査・分析 医療研究開発革新基盤創成事業(CiCLE)における人材育成支援 疾患標準薬及び開発薬に対する臨床試験概要調査
R5	臨床研究開発の治験デザイン調査並びに医薬品開発業務受託機関(CRO)及び医薬品受託製造(CDMO)に関する調査 核酸医薬品等のデリバリー・安定性等に係るDDSの最新情報調査 疾患標準薬及び開発薬に対する臨床試験概要調査

I. (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



R5年度評価

【評価指標】		令和5年度の達成状況	補足
1	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)	<ul style="list-style-type: none">倫理的・法的・社会的課題(ELSI)や研究への患者・市民参画(PPI)の視点を課題評価に導入すべく、新たにELSI、PPIに精通する有識者を課題評価委員に委嘱し、評価体制の強化を図った。	
2	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	<ul style="list-style-type: none">PSPOの下、外部有識者やコンサルティング企業(薬事、知財、財務、マーケティング等)と共に、総合的コンサルテーションとしてテラーメイドの伴走支援を実施した。課題の進捗状況に合わせ、適切に中間評価を行って研究開発等の推進を図った。定期的な企業財務状況モニタリング、現地経理調査等、財務・経理面でも研究開発等の推進を支援した。	
3	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)	<ul style="list-style-type: none">令和5年度、終了課題はないが、CiCLE実施機関の利便性向上のため、未達にかかる運用規定等の見直しを検討し、その概要をまとめた。	
4	上記の内容についての所管府省への適時適切な報告	<ul style="list-style-type: none">所管府省担当者について、課題評価委員会にオブザーバーとして出席いただいた。令和6年3月18日に関係府省への報告会を開催し、委託費増額の審査結果、採択課題の進捗などについて報告するとともに、事業の推進について意見交換を行った。	

I. (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

見込評価

【評価指標】	令和2年度～5年度の達成状況	補足
1 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)	<ul style="list-style-type: none"> COVID-19対策に関わる課題の公募及び迅速な評価・採択を行った。 GiCLEにおけるAMED他事業の研究成果橋渡し先機能を更に強化するため、AMED内他部署に応募への働きかけを依頼した。 多様な分野の研究開発を対象とすることから、様々な専門を有する130名以上の専門委員体制を構築し公平で厳格な事前評価を実施した。 事前評価の実施方法を見直し、課題評価実施要綱を改正した。 応募された課題のうち、AMED他事業と関連のあるものについては、担当部署にヒアリングを行い、不合理な重複・過度の集中がないかあらかじめ確認した。 倫理的・法的・社会的課題(ELSI)や研究への患者・市民参画(PPI)の視点を課題評価に導入すべく評価体制の強化を図った。 	
2 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	<ul style="list-style-type: none"> PSPOの下、外部有識者やコンサルティング企業(薬事、知財、財務、マーケティング等)と共に、総合的コンサルテーションとしてテラーメイドの伴走支援を実施した。 課題の進捗状況に合わせ、適切に中間評価を行って研究開発等の推進を図った。 定期的な企業財務状況モニタリング、現地経理調査等、財務・経理面で研究開発等の推進を支援した。 	
3 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)	<ul style="list-style-type: none"> 適時迅速に評価ができるように、AMED内の評価・決裁のプロセスを見直し、効率化した。 目標未達と判断される例について整理の上、第7回公募要領に明記した。 GiCLE実施機関の利便性向上のため、未達にかかる運用規定等の見直しを検討し、その概要をまとめた。 研究開発期間を満了した5課題について、速やかに事後評価を実施し、目標の達成を確認した。 	
4 上記の内容についての所管府省への適時適切な報告	<ul style="list-style-type: none"> GiCLEの継続性を維持する方策を所管府省と検討し、第6回公募において設計変更を実施した。 COVID-19対策について所管府省と検討し、第6回公募において、COVID-19対策課題は通常スケジュールから前倒した採択を行うこととした。 所管府省担当者には、採択・評価会にアドバイザーとして、課題評価委員会にオブザーバーとして出席いただいた。 定期的に関係府省への報告会を開催し、採択結果、増額、採択課題の進捗、新規公募などについて報告するとともに、事業の推進について意見交換を行った。 	