

国立研究開発法人日本医療研究開発機構の 中長期目標(第3期)(案)及び 評価軸等(第3期)(案)の概要

国立研究開発法人日本医療研究開発機構の中長期目標(第3期)案等について

(使命)

AMEDは、医療分野の研究開発における基礎的な研究開発から実用化のための研究開発まで一貫した研究開発の推進及びその成果の円滑な実用化並びに研究開発が円滑かつ効果的に行われるための環境の整備を総合的かつ効果的に行うため、健康・医療戦略推進本部が決定する医療分野研究開発推進計画に基づき、大学、研究開発法人等の能力を活用して行う医療分野の研究開発及びその環境整備等の研究支援を実施。

(現状・課題)

◆強み

- 医療分野の研究開発関連予算を、疾患を限定しないモダリティ等の統合プロジェクトに集約し、基礎から実用化まで切れ目ない研究開発支援を実施することにより、多数の研究成果を創出
- 疾患領域に関連した研究開発は、統合プロジェクトを横断する形で疾患ごとの柔軟なマネジメントを行い、研究成果の疾患横断的な展開や研究者の実用化への意識の変化などの効果

◆弱み・課題

- 多様なプレーヤーと連携し、出口志向の研究開発をリードできる人材の不足
- 各省庁に紐づく施策・事業の間の壁が存在

(環境変化)

- 世界の売上上位の新薬の中心が、低分子医薬品からバイオ医薬品、再生・細胞医療・遺伝子治療など新規モダリティに変化。
- 情報化・デジタル化により生み出された膨大なリアルワールドデータを活用したAI技術が社会変革を引き起こすと予期される。
- パンデミックが国家安全保障上の課題と強く認識されるようになり、国に対して感染症危機への平常時からの備えが従前に増して求められるようになった。
- 早期の段階からの倫理的・法的・社会的課題(ELSI)への対応や研究への患者・市民参画(PPI)をはじめとした「社会共創」の取組がますます重要になっている。

(中長期目標(第3期))

- 統合プロジェクトを、①医薬品、②医療機器・ヘルスケア、③再生・細胞医療・遺伝子治療、④感染症、⑤データ利活用・ライフコース、⑥シーズ開発・基礎研究、⑦橋渡し・臨床加速化、⑧イノベーション・エコシステムに再編するとともに、疾患領域に関連した研究開発については、統合プロジェクトを横断する形で、特定の疾患ごとに柔軟なマネジメントを行う。
- 基礎から実用化まで一貫した研究開発の推進について、絶え間なく創薬シーズを創出するとともに、出口志向性を強化して成果の実用化を加速。各省庁事業間をつなぐ支援の仕組みを整備し、所要の体制強化を行う。
- 大学病院・医学部の研究開発力強化やイノベーションの種を創出する基礎研究の充実、バイオバンク・データベースなどの研究基盤の整備を進めるなどにより、総合的に研究推進体制を確立。
- 研究開発成果を産業界等に受け渡した結果や医療としての社会実装を、薬事承認、ガイドライン等、製品上市数の定量情報として観測。権利譲渡契約などシーズの企業導出、治験、優れたシーズの発展・継続支援、Top1%論文数などをアウトプット指標として設定。

中長期目標(第3期)(案)のポイント

1. 中長期目標の期間 5年間(令和7年4月～令和12年3月)

2. 研究開発の成果の最大化その他の業務の質の向上に関する事項

(1)基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施

統合プロジェクトを8つに再編して研究開発を推進し、統合プロジェクト全体を通じて以下のアウトプット指標の達成を目指す。

<アウトプット指標>

- 権利譲渡契約・実施許諾契約・共同研究開発契約数(シーズの企業導出件数) 130件/年 (累計650件)
- 治験に至った件数 60件/年 (累計300件)
- 優れたシーズの発展・継続支援件数 120件/年 (累計600件)
- 論文数(Top1%論文) 120件/年 (累計600件)

<統合プロジェクトに基づく研究開発の推進>

- ①医薬品プロジェクト:国民に最新の医薬品を速やかに届けるため、創薬標的の探索から臨床研究・治験に至るまで、幅広い研究開発を行う。
- ②医療機器・ヘルスケアプロジェクト:AI・IOT技術や計測技術、ロボティクス技術等を融合的に活用し、診断・治療の高度化、予防・QOL向上に資する医療機器・ヘルスケアに関する研究開発を行う。
- ③再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト:再生・細胞医療・遺伝子治療分野から、有効な技術の実用化につなげるため、融合研究の推進や臨床研究拠点の整備を進めるとともに、革新的な研究開発・基盤整備を進める。
- ④感染症プロジェクト:新興・再興を含む幅広い感染症の研究の推進、エイズや肝炎についての予防法・治療法等の開発促進、今後の感染症有事を見据えた研究開発基盤の強化等を行う。
- ⑤データ利活用・ライフコースプロジェクト:がん、難病、認知症等の疾患レジストリ、ゲノム・コホート研究で得られた成果や検体に関する情報をデジタル化した加工データ基盤の整備・利活用を促進し、ライフコースを俯瞰した疾患の発症・重症化予防、病態解明、診断、治療等に資する研究開発を推進し、ゲノム医療、個別化医療の実現を目指す。
- ⑥シーズ開発・基礎研究プロジェクト:アカデミアの組織・分野の枠を超えた研究開発体制を構築し、新規モダリティの創出に向けた画期的なシーズの創出・育成等の基礎研究を推進するとともに、先進国や政策上重要な国々等との国際共同研究を強化する。
- ⑦橋渡し・臨床加速化プロジェクト:基礎研究から臨床試験段階までの一貫した橋渡し研究開発支援、国際共同治験能力を強化するよう国際水準の臨床試験実施体制の整備、医療系スタートアップ伴走支援等の取組の強化、医学系研究力の強化のための取組の支援を行う。
- ⑧イノベーション・エコシステムプロジェクト:創薬ベンチャーに対する非臨床試験段階から臨床試験段階までの研究開発及びベンチャーキャピタルによるハンズオン支援を強化するとともに、産学連携による研究成果の実用化を推進する。

中長期目標(第3期)(案)のポイント

(2) 疾患領域に関連した研究開発

がん、難病の視点でプロジェクトを横断して連携協力を調整する体制を構築するとともに、生活習慣病、神経疾患・精神疾患、老年医学・認知症、成育、歯科口腔保健については、各疾患に注目しつつ、ライフコースの視点で全体的なマネジメントを導入して研究開発を推進する。

(3) AMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等

(優れたシーズの創出・実用化の加速)

- ・成果の円滑な企業導出に向けて、早期から技術開発動向、疾患別の社会要請等も考慮しつつ、実現可能性、実用化インパクト、企業導出に必要なデータセットや知財の整備など出口戦略を明らかにして、魅力的なシーズ育成に取り組む。
- ・優れたシーズの実用化を加速するため、各府省庁に紐づく様々な支援事業について、事業間をまたいで連続的に研究開発を支援する「ペ어링」及び「マッチングの」仕組みを構築し、企業の開発に受け渡す仕組みを導入するとともに、情報の収集・整理・分析機能をAMEDに整備する。
 - ペ어링: 基礎段階の補助事業を選定する時に、次の応用段階へと連続的に支援する可能性を検討して採択し、基礎段階の終了時には、確認を経て応用段階へと連続的に支援することで、補助等事業間で切れ目なく支援する運用の仕組み
 - マッチング: 基礎段階の補助事業による研究開発の完了前に、次の応用段階へ進める是非を判断し、採用の場合は、次の補助等事業へと切れ目なく支援する運用の仕組み
- ・プロジェクト横断的なステージゲートの考え方を導入する等により、Go/No Goを早期に判定し、創薬や医療機器創出という出口に向けて次の段階につながらない研究開発課題や取組内容の入替えを研究開発期間の途中でも実施する。

(全8統合プロジェクトに共通する取組)

- ・世界最新の情勢を把握した現役世代研究者を含むPD、PS、POによるマネジメント体制を整備するとともに、AMEDの伴走支援機能の強化、ライセンス・共同研究・研究者自らの企業など様々な形態の企業導出に向けた成果の移転の促進に取り組む。
- ・従来のモダリティの研究を進化させるとともに、新規モダリティの創出、育成、導入及び利活用に取り組む。
- ・研究開発の手法として、生成AIをはじめとしたAIなどの利活用、これらの技術を用いた研究開発の加速を推進するとともに、我が国の研究者が世界に遅れることなくデータを利活用できるよう、あらゆる研究開発の局面で研究DXを追求する。
- ・海外との共同臨床試験・臨床試験ネットワーク拡大・グローバル人材の育成、海外への情報発信を推進する。
- ・成果の社会実装段階で、体格や身体の構造と機能の違いなど性差による不適切な影響が及ぶ恐れが生じないよう、ジェンダー・イノベーションの概念を取り入れ、計画段階から研究開発プロセスに性差分析を組み込む等の対応を行う。
- ・政府が令和8年度から順次導入する予定の、経済安全保障上の重要技術に関する技術流出防止策に対応し、経済安全保障に配慮し研究開発を推進する。

中長期目標(第3期)(案)のポイント

(研究開発の環境の整備)

- ・分野横断的な人材の育成や異分野人材の参入促進、国際競争力のある若手研究者の育成、我が国研究者の国際頭脳循環への参画、優秀な若手研究者の能力や創造性を引き出す仕組みの構築、研究に専念できる環境整備等による研究人材力の強化に取り組む。
- ・セクターを超えた人材の登用・積極支援を進めるとともに人材交流の機会を増加させ、人材流動を誘導する。
- ・基礎研究段階を主な対象とする事業では、研究者が自由な発想で最大限に創造力を発揮できる環境の重要性に配慮して取り組む。
- ・医療分野の研究開発に従事する者に対して、研究の内容に応じて、匿名加工医療情報及び仮名加工医療情報の活用について適切に助言や情報提供を行う。

(研究開発成果の普及)

- ・生命倫理への配慮及び個人情報適切な管理を行うとともに、医療分野の研究開発の公正かつ適正な実施の確保に必要な施策を講ずる。
- ・専門の部署を置き、研究不正防止の取組を推進する。他の関係機関と連携を図りながら、研究不正の防止に関するノウハウの蓄積等に努める。
- ・責任ある研究・イノベーション(RRI)の考え方に基づき研究開発を推進・展開するために必要な施策を講ずる。
- ・研究開発成果に係る情報について、成果の企業への導出、国際展開、国民への説明責任や国民の共感、関係人材の獲得などを目的とし、専門家から一般国民まで各ターゲット層の関心を考慮した情報を多様な媒体で発信する

中長期目標(第3期)(案)のポイント

3. 業務の運営の効率化に関する事項

- ・民間企業や業界団体から優秀な人材を出向者として受け入れ、外部の知見の活用と人材育成に取り組む。ペアリング・マッチング実施体制を整備し、ノウハウが蓄積できるよう、ナレッジマネジメントに取り組む。
- ・AMED研究開発課題管理支援ツールを全ての事業で活用できるようにシステムの改善を行い、電子契約など更なる合理化・効率化を図る。
- ・PDCAサイクルの徹底、適切な調達の実施、外部能力の活用、業務の効率化を進める。

4. 財務内容の改善に関する事項

- ・各年度において適切に予算を執行し、運営費交付金債務の不要な発生を抑制する。
- ・AMEDが保有する資産について、有効活用を推進する。不断の見直しを行い、必要がなくなったものについては廃止等を行う。

5. その他業務運営に関する重要事項

- ・内部統制について、法人の長による法人運営方針を定めるなど必要な取組を推進する。
- ・コンプライアンスの推進、情報公開の推進等、情報セキュリティ対策の推進、職員の意欲向上と能力開発等を進める。
- ・医療分野の研究開発のマネジメントを行う人材の確保・育成方策に基づく人材確保・育成
- ・研究セキュリティ・インテグリティの確保

中長期目標(第3期)の評価軸等の案の概要

中長期目標(第2期)案		主な評価軸等
Ⅲ	研究開発の成果の最大化その他の業務の質の向上に関する事項	
(1)	基礎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感染症プロジェクト ⑤データ利活用・ライフコースプロジェクト ⑥シーズ開発・基礎研究プロジェクト ⑦橋渡し・臨床加速化プロジェクト ⑧イノベーション・エコシステムプロジェクト	【主な評価指標】 ・権利譲渡契約数・実施許諾契約数・共同研究開発契約数(シーズの企業導出数) ・治験に至った件数 ・優れたシーズの発展・継続支援件数 ・論文数(Top1%) 【主なモニタリング指標】 ・主な評価指標、薬事承認・認証、医療等に実装された件数の詳細な内訳 等
(2)	疾患領域に関連した研究開発	
		・統合プロジェクト、事業、研究開発課題にまたがる特定疾患ごとのマネジメントの推進 ・研究課題採択後に予算規模や進捗状況等の把握・検証・公表や、関連する調査分析を関係府省庁に提供し、施策や事業の検討等の参考に供したか。 ・掲げられたテーマに重点的に取り組み、疾患領域ごとの柔軟なマネジメントにより成果を創出したか。 等
(3)	AMEDに求められる機能の発揮とそのための体制の構築等	
	①優れたシーズの創出・実用化の加速 ②全8統合プロジェクトに共通する取組 ③研究開発の推進体制の整備 ④研究開発成果の普及	・出口戦略を明らかにして、魅力的なシーズの育成に取り組んでいるか。 ・各府省庁に紐づく様々な支援事業について、事業間をまたいで連続的に研究開発を支援する仕組み(ペアリング及びマッチング)により、優れたシーズの実用化が加速されたか。 ・プロジェクト横断的なステージゲートの考え方による早期のGo/No Go判断が行われているか。 ・世界の最新の情勢を把握した現役世代研究者を含むPD、PS、PO等による一元的かつ一貫したプロジェクトマネジメントが機能したか。 ・新しい医薬品・医療機器等を生み出す創造性に富んだ人材と、医療の実用化に向けてこうした創造的な人材の活動を支える人材の育成・確保に取り組んだか。 ・研究開発の公正かつ適正な実施による信頼性確保に取り組んだか。 等7