

国立研究開発法人日本医療研究開発機構の 中長期目標の変更について

1. 経緯

- 国立研究開発法人日本医療研究開発機構（以下「AMED」という。）は、健康・医療戦略推進法（平成 26 年法律第 48 号）において、同法に基づき策定される医療分野研究開発推進計画を進めるに当たっての中核的な実施機関とされている。

- 現行の医療分野研究開発推進計画（平成 26 年 7 月 22 日 健康・医療戦略推進本部決定）について、今般、中間的な見直しが行われるため、AMED の中長期目標についても、その見直しに応じた変更が必要であることから、国立研究開発法人日本医療研究開発機構法（平成 26 年法律第 67 号）第 20 条第 1 項の規定に基づき、健康・医療戦略推進本部の意見を聴く。

2. 中長期目標の変更案

別紙のとおり。

以 上

国立研究開発法人日本医療研究開発機構 中長期目標変更案 新旧対照表

・変更部分は赤字で下線。

中長期目標 (変更前)	中長期目標 (変更後)
(略)	(略)
<u>I. 政策体系における法人の位置付け及び果たすべき役割</u>	<u>I. 政策体系における法人の位置付け及び果たすべき役割</u>
(略)	(略)
<p>具体的には、医療分野の研究開発の司令塔本部として、内閣に内閣総理大臣を本部長とし、全ての閣僚が本部員となる健康・医療戦略推進本部が設置され、</p> <p>① 政府が総合的かつ長期的に講ずべき健康・医療に関する先端的研究開発及び新産業創出に関する施策の大綱等である健康・医療戦略及び当該戦略に即した医療分野研究開発推進計画を定め、</p> <p>② 同戦略及び同計画の実施のために必要な、各省に計上されている医療分野の研究開発関連予算を集約することにより、司令塔機能の発揮に必要な予算を確保し、戦略的・重点的な予算配分を行い、</p> <p>③ AMEDにおいては、健康・医療戦略推進本部の下、医療分野研究開発推進計画に基づき、基礎から実用化まで切れ目ない研究支援を一体的に行う。</p>	<p>具体的には、医療分野の研究開発の司令塔本部として、内閣に内閣総理大臣を本部長とし、全ての閣僚が本部員となる健康・医療戦略推進本部が設置され、</p> <p>① 政府が総合的かつ長期的に講ずべき健康・医療に関する先端的研究開発及び新産業創出に関する施策の大綱等である健康・医療戦略及び当該戦略に即した医療分野研究開発推進計画を定め、</p> <p>② 同戦略及び同計画の実施のために必要な、各省に計上されている医療分野の研究開発関連予算を集約すること及び内閣府に計上される「<u>科学技術イノベーション創造推進費</u>」の一部を活用した医療分野の研究開発関連の調整費により、司令塔機能の発揮に必要な予算を確保し、戦略的・重点的な予算配分を行い、</p> <p>③ AMEDにおいては、健康・医療戦略推進本部の下、医療分野研究開発推進計画に基づき、基礎から実用化まで切れ目ない研究支援を一体的に行う。</p>

この際、基礎研究、臨床研究及び治験、創薬開発等の豊富な経験を有するプログラム・ディレクター（以下「PD」という。）、プログラム・オフィサー（以下「PO」という。）等の適切な配置を行い、実用化のための研究を基礎段階から一貫して一体的な管理を行うこととなっている。

（略）

AMEDは、医療分野研究開発推進計画において、医療分野の研究開発及びその環境整備の実施・助成について中核的な役割を担う機関として位置付けられており、医療分野の研究開発関連予算（国が定めた戦略に基づくトップダウンの研究を行うために、研究者や研究機関に配分される研究費等）を集約することにより、各省がそれぞれ実施してきた医療分野の研究開発について、

- ① 各省の枠を超えて、領域ごとに置かれるPD、POを活用した、基礎から実用化までの一貫した研究管理、
 - ② 知的財産の専門家による知的財産管理、知的財産取得戦略の立案支援や、臨床研究及び治験をサポートする専門のスタッフ等の専門人材による研究支援、
 - ③ 研究費申請の窓口・手続の一本化等による、研究費等のワンストップサービス化
- 等を図り、医療分野の研究開発を基礎から実用化まで切れ目ない研究支援を一体的に行うことが求められている。

この際、基礎研究、臨床研究及び治験、創薬開発等の豊富な経験を有するプログラム・ディレクター（以下「PD」という。）、プログラム・スーパーバイザー（以下「PS」という。）、プログラム・オフィサー（以下「PO」という。）等の適切な配置を行い、実用化のための研究を基礎段階から一貫して一体的な管理を行うこととなっている。

（略）

AMEDは、医療分野研究開発推進計画において、医療分野の研究開発及びその環境整備の実施・助成について中核的な役割を担う機関として位置付けられており、医療分野の研究開発関連予算（国が定めた戦略に基づくトップダウンの研究を行うために、研究者や研究機関に配分される研究費等）を集約することにより、各省がそれぞれ実施してきた医療分野の研究開発について、

- ① 各省の枠を超えて、領域ごとに置かれるPD、PS、POを活用した、基礎から実用化までの一貫した研究管理、
 - ② 知的財産の専門家による知的財産管理、知的財産取得戦略の立案支援や、臨床研究及び治験をサポートする専門のスタッフ等の専門人材による研究支援、
 - ③ 研究費申請の窓口・手続の一本化等による、研究費等のワンストップサービス化
- 等を図り、医療分野の研究開発を基礎から実用化まで切れ目ない研究支援を一体的に行うことが求められている。

このようなAMEDに期待されている役割(ミッション)が十分発揮され、世界最高水準の医療の提供、ひいては、健康長寿社会の形成に資することを期待しているものである。

(略)

Ⅲ. 研究開発の成果の最大化その他の業務の質の向上

(略)

(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の実現

AMEDにおいて実施される研究開発の成否は、プロジェクトマネジメントにかかっている。このため、患者や医療現場、産業界等からのニーズの把握や技術的可能性を評価し、現実的なビジョンの下に計画を常に見直すことのできるマネジメントを実現する。そのためには、優れたシーズを見出す目利き機能、臨床研究及び治験への橋渡しや実用化を実現するための産業界への導出に向けての企画力、規制対応等の周到的な準備と研究者を支援・指導する牽引力が求められる。

具体的には、患者や医療現場、研究者、産業界等からのニーズの把握等のためのアドバイザリーボードを理事長の下に置くとともに、国内外の動向を把握、評価し、テーマを抽出するための専門家によるシンクタンク機能を

このようなAMEDに期待されている役割(ミッション)が十分発揮され、世界最高水準の医療の提供、ひいては、健康長寿社会の形成に資することを期待しているものである。

(略)

Ⅲ. 研究開発の成果の最大化その他の業務の質の向上

(略)

(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の実現

各省の関連する研究開発事業を統合的に連携させ、1つのプロジェクトとして一元的に管理する「統合プロジェクト」など、AMEDにおいて実施される研究開発の成否は、プロジェクトマネジメントにかかっている。このため、患者や医療現場、産業界等からのニーズの把握や技術的可能性を評価し、現実的なビジョンの下に計画を常に見直すことのできるマネジメントを実現する。そのためには、優れたシーズを見出す目利き機能、臨床研究及び治験への橋渡しや実用化を実現するための産業界への導出に向けての企画力、規制対応等の周到的な準備と研究者を支援・指導する牽引力が求められる。

具体的には、患者や医療現場、研究者、産業界等からのニーズの把握等のためのアドバイザリーボードを理事長の下に置くとともに、国内外の動向を把握、評価し、テーマを抽出するための専門家によるシンクタンク機能を

備える。また、個別研究課題の選定にピア・レビュー方式を導入する。世界の最新の情勢を把握したPD、PO等がこれを活用した研究の実施、研究動向の把握・調査、シーズの探査・育成研究の強化(スクリーニングや最適化研究)や優れた基礎研究成果を臨床研究及び治験、産業化へつなげる一貫したマネジメント(研究の進捗管理・助言、規制対応等)及び適切な研究実施のための監視・管理機能など、研究開発の開始、推進、監視・管理、さらには、方針の転換に至るまで一元的かつ一貫したプロジェクトマネジメント機能を果たすものとする。

また、医療研究開発を円滑に促進するために、AMEDから交付される研究費について現場で効果的に使えるよう工夫を行う。

(略)

④実用化へ向けた支援

知的財産管理・相談窓口、知的財産取得戦略の立案支援等の知的財産取得に向けた研究機関への支援機能

備える。また、個別研究課題の選定においてピア・レビューを行うための評価委員会を設置し、評価の質及び公正性・透明性の一層の向上を図り、成果が見込まれる適切な研究課題を選定する。世界の最新の情勢を把握したPD、PS、PO等がこれを活用した研究の実施、研究動向の把握・調査、シーズの探査・育成研究の強化(スクリーニングや最適化研究)や優れた基礎研究成果を臨床研究及び治験、産業化へつなげる一貫したマネジメント(研究の進捗管理・助言、規制対応等)及び適切な研究実施のための監視・管理機能など、研究開発の開始、推進、監視・管理、さらには、方針の転換に至るまで一元的かつ一貫したプロジェクトマネジメント機能を果たすものとする。

また、医療研究開発を円滑に促進するために、AMEDから交付される研究費について現場で効果的に使えるよう、調整費の活用や研究機器の合理的使用など工夫を行う。

さらに、効果的な研究開発を行う上で、研究開発に係る情報の集約及び分析、それに基づく研究開発マネジメントが重要である。従って、AMEDが実施する課題を始めとする関連研究開発のデータベースを構築し、ファンディングに係るマネジメント等への活用を図る。また、ピア・レビューの方法や研究開発提案書について、国際的知見の収集等を行い、国際的視点も意識しつつ、これまで各分野で異なっていた評価システムの共通化を進める。

(略)

④実用化へ向けた支援

知的財産管理・相談窓口、知的財産取得戦略の立案支援等の知的財産取得に向けた研究機関への支援機能

や、独立行政法人医薬品医療機器総合機構(PMDA)と連携した有望シーズの出口戦略の策定・助言や企業への情報提供・マッチング、知的財産の導出(ライセンスアウト)及びワンストップサービスの提供等といった実用化に向けた企業連携・産学連携を支援する機能の具備を図る。また、研究開発の成果が、我が国の医療技術水準や産業競争力の向上に寄与することができるよう、官民ファンド等に研究開発の成果をつなげ、実用化を促進する取組を行う。

(略)

⑥国際戦略の推進

最先端分野における欧米等の研究開発先進国との協力、ゲノム研究におけるアジア諸国との連携をはじめ国際貢献及び協力は、同時に、我が国の研究開発にとっても必要欠くべからざるものとなっており、ひいては世界の持続可能な発展につながるものである。産業化の視点では、画像診断分野において、医療への貢献、海外展開を加速する。加えて、相手国の実情とニーズに適した医療サービスの提供や制度開発等の協力を通じて、真に相手国の医療の発展に寄与する持続的な事業展開を意識した日本の産業競争力の強化を図る必要がある。さらに、地球規模課題としての保健医療(グローバルヘルス)を日本外交の重要課題と位置付け、日本の知見等を総動員し、世界の全ての人々が基本的保健医療サービスを負担可能な費用で享受すること(ユニバーサル・ヘルス・カバレッジ)も求められる。

や、2015年8月に連携協定を締結した独立行政法人医薬品医療機器総合機構(PMDA)と連携した有望シーズの出口戦略の策定に係る助言や企業への情報提供・マッチング、知的財産の導出(ライセンスアウト)及びワンストップサービスの提供等といった実用化に向けた企業連携・産学連携を支援する機能の具備を図る。また、研究開発の成果が、我が国の医療技術水準や産業競争力の向上に寄与することができるよう、2016年3月に相互協力協定を締結した株式会社産業革新機構との連携等を通じて研究開発の成果の実用化を促進する取組を行う。

(略)

⑥国際戦略の推進

最先端分野における欧米等の研究開発先進国との協力、ゲノム研究におけるアジア諸国との連携をはじめ国際貢献及び協力は、同時に、我が国の研究開発にとっても必要欠くべからざるものとなっており、ひいては世界の持続可能な発展につながるものである。産業化の視点では、画像診断分野において、医療への貢献、海外展開を加速する。加えて、相手国の実情とニーズに適した医療サービスの提供や制度開発等の協力を通じて、真に相手国の医療の発展に寄与する持続的な事業展開を意識した日本の産業競争力の強化を図る必要がある。さらに、地球規模課題としての保健医療(グローバルヘルス)を日本外交の重要課題と位置付け、日本の知見等を総動員し、世界の全ての人々が基本的保健医療サービスを負担可能な費用で享受すること(ユニバーサル・ヘルス・カバレッジ)も求められる。

このような認識の下、国際的な研究開発動向を踏まえ、我が国にとって真に価値のある国際共同研究を推進するとともに、我が国の医療に係る研究能力を活用して国際的にも貢献する。

⑦政府出資を活用した産学官共同での医薬品・医療機器の研究開発の促進等

政府出資を活用し、革新的な**新薬**・医療機器等の創出に向けて、産学官が連携して取り組む研究開発及びその環境の整備を促進する。

当該事業を進めるに当たっては、実用化が困難な革新的**新薬**・医療機器等の実用化開発の不確実性を踏まえ、研究開発に係る事業計画・事業目標を含む事業採択のための審査、事業の進捗状況の確認や進捗過程における課題の相談、事業終了時の事業目標等の達成状況等の評価など、政府出資を活用して研究開発等を支援するために必要な実施体制を構築する。また、その進捗状況については、内閣府、文部科学省、厚生労働省及び経済産業省（以下「所管府省」という。）に適宜報告するとともに、所管府省から改善を求められた場合には、これに適切に対応する。

このような認識の下、国際的な研究開発動向を踏まえ、我が国にとって真に価値のある国際共同研究を推進することによって国民に最高水準の医療を提供することが必要である。また、国際的にも貢献するため、グローバルなデータシェアリングへの戦略的な対応（例えば、難病・未診断疾患に関する情報を共有・分析する連携体制の構築など）を行う。さらに、我が国の医療に係る研究能力を活用して国際的にも貢献するため、AMEDは、主要な海外ファンディング機関との協力協定の下、医療分野における研究開発の中核的な都市に置いた海外事務所（米国、英国、シンガポール）を活用しつつ、共同研究の推進・調整や情報収集・発信等を行っていく。

⑦政府出資を活用した産学官共同での医薬品・医療機器の研究開発の促進等

政府出資を活用し、革新的な**医薬品**・医療機器等の創出に向けて、産学官が連携して取り組む研究開発及びその環境の整備を促進する。

当該事業を進めるに当たっては、実用化が困難な革新的**医薬品**・医療機器等の実用化開発の不確実性を踏まえ、研究開発に係る事業計画・事業目標を含む事業採択のための審査、事業の進捗状況の確認や進捗過程における課題の相談、事業終了時の事業目標等の達成状況等の評価など、政府出資を活用して研究開発等を支援するために必要な実施体制を構築する。また、その進捗状況については、内閣府、文部科学省、厚生労働省及び経済産業省（以下「所管府省」という。）に適宜報告するとともに、所管府省から改善を求められた場合には、これに適切に対応する。

(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

医療分野研究開発推進計画(平成26年7月22日健康・医療戦略推進本部決定。以下「計画」という。)は、基礎研究からの優れたシーズを見出し、これを実用化へ一貫してつなぎ、具体的な成果を目指すものである。このため、取組の当初から、臨床研究及び治験への橋渡しや産業界への導出に向けた戦略と周到な準備に基づく実施が求められる。

AMEDは、これまでの研究開発によるシーズ等の活用も含めて、計画に掲げている研究領域(医薬品創出、医療機器開発、革新的な医療技術創出拠点、再生医療、オーダーメイド・ゲノム医療、疾病に対応した研究(がん、精神・神経疾患、新興・再興感染症、難病)等)ごとの成果目標(KPI)を設定等し、その達成に向けて、個々の研究開発の開始・方針の転換等について権限と裁量を、研究領域ごとに置くPDに付与し、PDの下に各研究チームが、出口を見据えて、シーズの探索・選択や個々のシーズごとの戦略に基づく開発研究を行うとともに、シーズが頓挫した場合にはそれに替わる新たなシーズを随時選択することで、各チームの下で常に複数のシーズの開発研究が行われるようなマネジメントを構築する。

(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

医療分野研究開発推進計画(平成26年7月22日健康・医療戦略推進本部決定、平成〇年〇月〇日一部変更。以下「推進計画」という。)は、基礎研究からの優れたシーズを見出し、これを実用化へ一貫してつなぎ、具体的な成果を目指すものである。このため、取組の当初から、臨床研究及び治験への橋渡しや産業界への導出に向けた戦略と周到な準備に基づく実施が求められる。

AMEDは、これまでの研究開発によるシーズ等の活用も含めて、推進計画に掲げている複数の疾患領域における研究の基盤的な性質を有する研究開発であるなど横断的な取組である「横断型統合プロジェクト」(医薬品創出、医療機器開発、革新的な医療技術創出拠点、再生医療、オーダーメイド・ゲノム医療)や社会的・臨床的に必要性・重要性が高い疾患領域に関する取組を「疾患領域対応型統合プロジェクト」(がん、精神・神経疾患、新興・再興感染症、難病)において達成すべき成果目標(KPI)を設定等し、その達成に向けて、個々の研究開発の開始・方針の転換等について権限と裁量を、統合プロジェクトごとに置くPDに付与し、PDの下に各研究チームが、出口を見据えて、シーズの探索・選択や個々のシーズごとの戦略に基づく開発研究を行うとともに、当該プロジェクトの進捗管理・レビューを的確に実施し、シーズが頓挫した場合にはそれに替わる新たなシーズを随時選択することで、各チームの下で常に複数のシーズの開発研究が行われるようなマネジメントを構築する。

また、医療の有効性、安全性及び効率性の観点から医療に変革をもたらすための技術やシステム(メディカルアーツ)の開発及び普及に関する研究を本格的に推進す

さらに、リスクはあるが、飛躍的な可能性を秘めた課題に対しても、画期的なイノベーションの実現を目指す支援を行うことが期待される。

これらの各省連携プロジェクトの推進に当たっては、疾患の基礎研究の発展を図りつつ、研究の急激な進捗や、関係する科学技術の画期的な発展等に機動的に対応できるような資源配分やマネジメント、レギュラトリーサイエンスの充実を実現する。

以下の研究領域等を互いに連携して研究開発を推進していくため、適切な進捗管理等を通じて必要な対応を図る。

計画に掲げられている研究領域等ごとの目標は下記のとおりであるが、これらは、健康・医療戦略推進本部が平成26年7月に決定した計画における目標を掲げていることから、いずれも重要度、優先度等は高いものである。

① 医薬品創出

創薬支援ネットワークなどの医薬品創出のための支援基盤の整備及び基礎研究から医薬品としての実用化につなげるまでの切れ目のない支援を推進する。

具体的には、創薬支援ネットワークの構築により、大学や産業界と連携しながら、新薬創出に向けた研究開発を支援するとともに、創薬支援のための基盤強化を図る。また、創薬ターゲットの同定に係る研究、創薬の基盤となる技術開発、医療技術の実用化に係る研究を推進し、革新的医薬品及び希少疾患治療薬等の開発を支援する。医薬品の実用化支援については、最新の特許関連情報データベースを活用しつつ、創薬支援コーディネーターチームの目利き評価により大学等で生み出された研究成果か

る。

さらに、リスクはあるが、飛躍的な可能性を秘めた課題に対しても、画期的なイノベーションの実現を目指す支援を行うことが期待される。

これらの統合プロジェクトの推進に当たっては、疾患の基礎研究の発展を図りつつ、研究の急激な進捗や、関係する科学技術の画期的な発展等に機動的に対応できるような資源配分やマネジメント、レギュラトリーサイエンスの充実を実現する。

以下の統合プロジェクト等を互いに連携して研究開発を推進していくため、適切な進捗管理等を通じて必要な対応を図る。

推進計画に掲げられている統合プロジェクト等ごとの目標は下記のとおりであるが、これらは、健康・医療戦略推進本部が決定した推進計画において目標を掲げていることから、いずれも重要度、優先度等は高いものである。

① 医薬品創出

創薬支援ネットワークなどの医薬品創出のための支援基盤の整備及び基礎研究から医薬品としての実用化につなげるまでの切れ目のない支援を推進する。

具体的には、創薬支援ネットワークの構築や創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業などの医薬品創出のための支援基盤の整備により、大学や産業界と連携しながら、新薬創出に向けた研究開発を支援するとともに、創薬支援のための基盤強化を図る。また、創薬ターゲットの同定に係る研究、創薬の基盤となる技術開発、医療技術の実用化に係る研究を推進し、革新的医薬品及び希少疾患治療薬等の開発を支援する。医薬品の実用化支援については、最新の特許関連情報データベースを活用しつ

ら有望シーズを選抜し、創薬支援ネットワークが保有する創薬支援資源を集中的に投下することにより、応用ステージ(スクリーニング、最適化研究、非臨床試験)を中心に、革新的新薬の創出を目指したオールジャパンでの強力な支援を行う。

これらの取組を実施することにより、2020年頃までの達成目標として、

- ・相談・シーズ評価 1500件
- ・有望シーズへの創薬支援 200件
- ・企業への導出(ライセンスアウト)5件
- ・創薬ターゲットの同定10件

を目指すものとする。

② 医療機器開発

我が国発の優れた医療機器について、医療ニーズを確実に踏まえて、日本の強みとなるものづくり技術も生かしながら、開発・実用化を推進し、研究開発から実用化につなげる体制整備を進める。

具体的には、計画において設定された成果目標(医療機器の輸出額を倍増、国内医療機器市場規模の拡大等)の実現に向け、医工連携による医療機器開発を促進する。医療機器開発は医療現場のニーズを取り込むことが重要であることや医薬品医療機器等法対応等において課題があるため、複数の専門支援機関と大学病院、研究機関の連携による開発支援体制(医療機器開発支援ネットワーク)を構築し、その中核的役割を果たす医工連携並びに産学連携のハブとして機能を整備するとともに、我が国の高い技術力を生かし、技術シーズの創出と医療機器・システムの実用化へとつなげる研究開発を行う。併

つ、創薬支援コーディネーターチームの目利き評価により大学等で生み出された研究成果から有望シーズを選抜し、創薬支援ネットワークが保有する創薬支援資源を集中的に投下することにより、応用ステージ(スクリーニング、最適化研究、非臨床試験)を中心に、革新的新薬の創出を目指したオールジャパンでの強力な支援を行う。

これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、

- ・相談・シーズ評価 1500件
- ・有望シーズへの創薬支援 200件
- ・企業への導出(ライセンスアウト)5件
- ・創薬ターゲットの同定10件

を目指すものとする。

② 医療機器開発

我が国発の優れた医療機器について、医療ニーズを確実に踏まえて、日本の強みとなるものづくり技術も生かしながら、開発・実用化を推進し、研究開発から実用化につなげる体制整備を進める。

具体的には、推進計画において設定された成果目標(医療機器の輸出額を倍増、国内医療機器市場規模の拡大等)の実現に向け、医工連携による医療機器開発を促進する。医療機器開発は医療現場のニーズを取り込むことが重要であることや医薬品医療機器等法対応等において課題があるため、各省・専門支援機関(国立研究開発法人産業技術総合研究所、公益財団法人医療機器センター等)・地域支援機関・医療機関・学会等の連携による開発支援体制(医療機器開発支援ネットワーク)を強化し、その中核的役割を果たす医工連携並びに産学連携のハブとして機能を整備するとともに、我が国の高い技術

せて、研究開発人材の育成も行う。

これらの取組を実施することにより、2020年頃までの達成目標として、

- ・5種類以上の革新的医療機器の実用化
- ・医工連携による医療機器開発件数 100件
- ・医療機器の実用化による成果 約1,500億円

を目指すものとする。

③ 革新的な医療技術創出拠点

アカデミア等における画期的な基礎研究成果を一貫して実用化につなぐ体制を構築するとともに、各開発段階のシーズについて国際水準の質の高い臨床研究や治験を実施・支援する体制の整備も行う。

具体的には、大学等の基礎研究成果を一貫して実用化につなぐ体制を構築するため、当該プロジェクトにおける、橋渡し研究支援拠点、早期・探索的臨床試験拠点、臨床研究中核病院及び日本主導型グローバル臨床研究拠点の一体化を進めるとともに、人材確保・育成を含めた拠点機能の強化・特色化、ネットワーク化、オープンアクセス化及びシーズの拡大を更に推進する。また、ICH-GCP準拠の国際水準の質の高い臨床研究や医師主導治験を実施するとともに、ARO機能を持ち、多施設共同研究の支援を行う施設としてこれら拠点の整備を進める。

これらの取組を実施することにより、2020年頃までの達成

目標として、

- ・医師主導治験届出数 年間40件

力を生かし、医療機器の開発・事業化を加速する。併せて、事業化人材・伴走コンサル人材の育成、国際標準化、知財強化を進める。

これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、

- ・5種類以上の革新的医療機器の実用化
- ・医工連携による医療機器開発件数 100件
- ・医療機器の実用化による成果 約1,500億円

を目指すものとする。

③ 革新的な医療技術創出拠点

アカデミア等における画期的な基礎研究成果を一貫して実用化につなぐ体制を構築するとともに、各開発段階のシーズについて国際水準の質の高い臨床研究や治験を実施・支援する体制の整備も行う。

具体的には、大学等の基礎研究成果を一貫して実用化につなぐ体制を構築するため、当該プロジェクトにおける、橋渡し研究支援拠点、臨床研究中核病院等の一体化を進めるとともに、人材確保・育成を含めた拠点機能の強化・特色化、ネットワーク化、オープンアクセス化及びシーズの拡大を更に推進する。また、ICH-GCP準拠の国際水準の質の高い臨床研究や医師主導治験を実施するとともに、ARO機能を持ち、多施設共同研究の支援を行う施設としてこれら拠点の整備を進める。なお、ARO機能の更なる活用のため、各医療機関が有するARO機能について客観的な評価も行う。

これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、

- ・医師主導治験届出数 年間40件
- ・First in Human (FIH) 試験 (企業治験を含む)

<p>・FIH試験(企業治験含む)年間40件を目指すものとする。</p> <p>④ 再生医療</p> <p>基礎から臨床段階まで切れ目なく一貫した支援を行うとともに、再生医療関連事業のための基盤整備並びに、iPS細胞等の創薬支援ツールとしての活用に向けた支援を進め、新薬開発の効率性の向上を図る。</p> <p>具体的には、iPS細胞等を用いた再生医療の迅速な実現に向けて、安全なiPS細胞の提供に向けた取組、幹細胞操作技術等のiPS細胞等の実用化に資する技術の開発・共有、再生医療の基礎研究・非臨床試験の推進等を実施する。また、再生医療の臨床研究及び治験の推進や再生医療等製品の安全性評価手法の開発等を行う。さらに、再生医療の実現化を支える産業基盤を構築する。</p> <p>また、新薬開発の効率性の向上を図るために、連携してiPS細胞等を用いた創薬等研究を支援する。また、iPS細胞技術を応用した心毒性評価手法の開発及び国際標準化への提案を行う。さらに、幹細胞による創薬支援の実現化を支える産業基盤を構築する。</p> <p>これらの取組を実施することにより、2020年頃までの達成目標として、</p> <ul style="list-style-type: none"> ・iPS細胞技術を活用して作製した新規治療薬の臨床応用 ・再生医療等製品の薬事承認数の増加 ・臨床研究又は治験に移行する対象疾患の拡大 約15件 ・再生医療関係の周辺機器・装置の実用化 ・iPS細胞技術を応用した医薬品心毒性評価法の国際標準化への提言 	<p>年間40件を目指すものとする。</p> <p>④ 再生医療</p> <p>基礎から臨床段階まで切れ目なく一貫した支援を行うとともに、再生医療関連事業のための基盤整備並びに、iPS細胞等の創薬支援ツールとしての活用に向けた支援を進め、新薬開発の効率性の向上を図る。</p> <p>具体的には、iPS細胞等を用いた再生医療の迅速な実現に向けて、安全なiPS細胞の提供に向けた取組、幹細胞操作技術等のiPS細胞等の実用化に資する技術の開発・共有、再生医療の基礎研究・非臨床試験の推進等を実施する。また、再生医療の臨床研究及び治験の推進や再生医療等製品の安全性評価手法の開発等を行う。さらに、再生医療の実現化を支える産業基盤を構築する。</p> <p>また、新薬開発の効率性の向上を図るために、連携してiPS細胞等を用いた創薬等研究を支援する。また、iPS細胞技術を応用した心毒性評価手法の開発及び国際標準化への提案を行う。さらに、幹細胞による創薬支援の実現化を支える産業基盤を構築する。</p> <p>これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、</p> <ul style="list-style-type: none"> ・iPS細胞技術を活用して作製した新規治療薬の臨床応用(臨床研究又は治験の開始) ・再生医療等製品の薬事承認数の増加 ・臨床研究又は治験に移行する対象疾患の拡大 35件 ・再生医療関係の周辺機器・装置の実用化 ・iPS細胞技術を応用した医薬品心毒性評価法の国際標準化への提言
--	--

を目指すものとする。

⑤ オーダーメイド・ゲノム医療

急速に進むゲノムレベルの解析技術の進展を踏まえ、疾患と遺伝的要因や環境要因等の関連性の解明の成果を迅速に国民に還元するため、解析基盤の強化を図るとともに、特定の疾患の解明及びこれに対する臨床応用の推進を図る。

具体的には、疾患及び健常者バイオバンクを構築すると共にゲノム解析情報及び臨床情報等を含めたデータ解析を実施し、疾患の発症原因や薬剤反応性等の関連遺伝子の同定・検証及び日本人の標準ゲノム配列の特定を進める。また、共同研究やゲノム付随研究等の実施により、難治性・希少性疾患等の原因遺伝子の探索を図るとともに、ゲノム情報をいかした革新的診断治療ガイドラインの策定に資する研究を推進する。さらに、ゲノム医療実現に向けた研究基盤の整備やゲノム医療提供体制の構築を図るための試行的・実証的な臨床研究を推進する。これらの取組を実施することにより、2020－30年頃までの達成目標として、

・生活習慣病(糖尿病や脳卒中、心筋梗塞など)の劇的な改善

・発がん予測診断、抗がん剤等の治療反応性や副作用の予測診断の確立

・うつ、認知症のゲノム医療に係る臨床研究の開始

・神経・筋難病等の革新的な診断・治療法の開発

を目指すものとする。

⑤ オーダーメイド・ゲノム医療

急速に進むゲノムレベルの解析技術の進展を踏まえ、疾患と遺伝的要因や環境要因等の関連性の解明の成果を迅速に国民に還元するため、解析基盤の強化を図るとともに、特定の疾患の解明及びこれに対する臨床応用の推進を図る。その際、ゲノム医療の実現には時間を要することから、長期的視点に立って戦略的に推進する。

具体的には、疾患及び健常者バイオバンクを構築すると共にゲノム解析情報及び臨床情報等を含めたデータ解析を実施し、疾患の発症原因や薬剤反応性等の関連遺伝子の同定・検証及び日本人の標準ゲノム配列の特定を進める。また、共同研究やゲノム付随研究等の実施により、難治性・希少性疾患等の原因遺伝子の探索を図るとともに、ゲノム情報を生かした革新的診断治療ガイドラインの策定に資する研究を推進する。さらに、ゲノム医療実現に向けた研究基盤の整備やゲノム医療提供体制の構築を図るための試行的・実証的な臨床研究を推進する。これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、

・糖尿病などに関するリスク予測や予防、診断(層別化)や治療、薬剤の選択・最適化等に係るエビデンスの創出

・発がん予測診断、抗がん剤等の治療反応性や副作用の予測診断に係る臨床研究の開始

・認知症・感覚器系領域のゲノム医療に係る臨床研究の開始

・神経・筋難病等の革新的な診断・治療法に係る臨床研究の開始

を目指すものとする。2020年頃までに、上記の達成目標のうち少なくとも1つ以上達成することを目指すものとする。

⑥ 疾患に対応した研究〈がん〉

がん対策推進基本計画(平成24年6月閣議決定)に基づき策定された「がん研究10か年戦略」(平成26年3月関係3大臣確認)を踏まえ、関係省の所管する研究関連事業の連携の下、がんの本態解明等に係る基礎研究から実用化に向けた研究まで一体的に推進する。

具体的には、基礎研究の有望な成果を厳選し、実用化に向けた医薬品、医療機器を開発する研究を推進し、臨床研究及び治験へ導出する。また、臨床研究及び治験で得られた臨床データ等を基礎研究等に還元し、医薬品、医療機器の開発を始めとするがん医療の実用化を加速する。

これらの取組を実施することにより、2020年頃までの達成目標として、

- ・5年以内に日本発の革新的ながん治療薬の創出に向けた10種類以上の治験への導出
- ・小児がん、難治性がん、希少がん等に関して、未承認薬・適応外薬を含む治療薬の実用化に向けた6種類以上の治験への導出
- ・小児がん、希少がん等の治療薬に関して1種類以上の薬事承認・効能追加
- ・小児がん、難治性がん、希少がん等のドラッグ・ラグ、デバイス・ラグ(開発ラグ)の解消に向けた、国際基準に準拠した臨床研究等の推進

を目指すものとする。2020年までに、上記の達成目標のうち少なくとも1つ以上達成することを目指すものとする。

⑥ 疾患領域対応型統合プロジェクト〈がん〉

がん対策推進基本計画(平成24年6月8日閣議決定)に基づき策定された「がん研究10か年戦略」(平成26年3月関係3大臣確認)を踏まえ、関係省の所管する研究関連事業の連携の下、がんの本態解明等に係る基礎研究から実用化に向けた研究まで一体的に推進する。

具体的には、我が国でリードすべき基礎研究の有望な成果を厳選し、実用化に向けた医薬品、医療機器を開発する研究を推進し、臨床研究及び治験へ導出するとともに、臨床・ゲノム情報基盤を整備しビッグデータを活用することによって個別化医療の実現、国際的な貢献を果たす。また、臨床研究及び治験で得られた臨床データ等を基礎研究等に還元し、医薬品、医療機器の開発を始めとするがん医療の実用化を加速する。

これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、

- ・日本発の革新的ながん治療薬の創出に向けた10種類以上の治験への導出
- ・小児がん、難治性がん、希少がん等に関して、未承認薬・適応外薬を含む治療薬の実用化に向けた12種類以上の治験への導出
- ・小児がん、希少がん等の治療薬に関して1種類以上の薬事承認・効能追加
- ・小児がん、難治性がん、希少がん等のドラッグ・ラグ、デバイス・ラグ(開発ラグ)の解消に向けた、国際基準に準拠した臨床研究等の推進

・小児・高齢者のがん、希少がんに対する標準治療の確立に向けた、ガイドライン(3件以上)作成に資する多施設共同臨床試験の実施
を目指すものとする。

⑦ **疾患に対応した研究**〈精神・神経疾患〉

認知症やうつ病などの精神疾患等の発症に関わる脳神経回路・機能の解明に向けた研究開発及び基盤整備を各省連携の下に強力に進めることにより、革新的診断・予防・治療法を確立し、**認知症**・精神疾患等を克服する。

具体的には、脳全体の神経回路の構造・機能の解明やバイオマーカー開発に向けた研究開発及び疾患の特性を踏まえた臨床研究の基盤整備等を推進するとともに、認知症やうつ病などの精神疾患等の発症メカニズム解明、診断法、適切な治療法の確立を目指す。

これらの取組を実施することにより、**2020年頃**までの達成目標として、

- ・日本発の認知症、**うつ病などの精神疾患の根本治療薬候補**の治験開始
 - ・精神疾患の客観的診断法の確立
 - ・精神疾患の適正な**薬物**治療法の確立
 - ・脳全体の神経回路の構造と活動に関するマップの完成
- を目指すものとする。

⑧ **疾患に対応した研究**〈新興・再興感染症〉

・小児・高齢者のがん、希少がんに対する標準治療の確立に向けた、ガイドライン(3件以上)作成に資する多施設共同臨床試験の実施
を目指すものとする。

⑦ **疾患領域対応型統合プロジェクト**〈精神・神経疾患〉

認知症やうつ病などの精神・**神経**疾患等の発症に関わる脳神経回路・機能の解明に向けた研究開発及び基盤整備を各省連携の下に強力に進めることにより、革新的診断・予防・治療法を確立し、精神・**神経**疾患等を克服する。

具体的には、脳全体の神経回路の構造・機能の解明やバイオマーカー開発に向けた研究開発及び疾患の特性を踏まえた臨床研究の基盤整備等を推進するとともに、認知症やうつ病などの精神・**神経**疾患等の発症メカニズム解明、診断法、適切な治療法の確立を目指す。

これらの取組を実施することにより、**2020年**までの達成目標として、

- ・**認知症の診断・治療効果に資するバイオマーカーの確立(臨床POC取得1件以上)**
 - ・日本発の認知症の**疾患修飾薬候補**の治験開始
 - ・精神疾患の客観的診断法の確立(**臨床POC取得4件以上、診療ガイドライン策定5件以上**)
 - ・精神疾患の適正な治療法の確立(**臨床POC取得3件以上、診療ガイドライン策定5件以上**)
 - ・脳全体の神経回路の構造と活動に関するマップの完成
- を目指すものとする。

⑧ **疾患領域対応型統合プロジェクト**〈新興・再興感染症〉

新型インフルエンザなどの感染症から国民及び世界の人々を守るため、感染症に関する国内外での研究を各省連携して推進するとともに、その成果をより効率的・効果的に治療薬・診断薬・ワクチンの開発等につなげることで、感染症対策を強化する。

具体的には、インフルエンザ、結核、動物由来感染症、デング熱、薬剤耐性菌、下痢症感染症、HTLV-1(ヒトT細胞白血病ウイルス1型)など、国内外の様々な病原体に関する疫学的調査及び基盤的研究並びに予防接種の有効性及び安全性の向上に資する研究を実施し、感染症対策並びに診断薬、治療薬及びワクチン開発を一体的に推進する。

また、国内外の病原体に関する全ゲノムデータベースを構築することで、病原体情報をリアルタイムに共有し、感染症の国際的なリスクアセスメントを可能とする。また、集積された情報を分析することで、重点的なサーベイランスを実施するなど、感染症流行時の迅速な対応の促進を図る。

さらに、予防接種に関する基本的な計画、特定感染症予防指針及びストップ結核ジャパンアクションプラン等を踏まえ、病原体の薬剤ターゲット部位を同定すること等を通じ、新たな診断薬・治療薬・ワクチンのシーズの開発を実施する。これにより、国内のみならず、感染症が発生している海外の現地における予防・診断・治療等への貢献が可能となる。

また、国内の臨床医や若手の感染症研究者の育成を推進するため、感染症研究国際展開戦略プログラム(J-GRID)の海外拠点と国立感染症研究所等で研修プログラムを実施する。

新型インフルエンザなどの感染症から国民及び世界の人々を守るため、感染症に関する国内外での研究を各省連携して推進するとともに、その成果をより効率的・効果的に治療薬・診断薬・ワクチンの開発等につなげることで、感染症対策を強化する。

具体的には、インフルエンザ、結核、動物由来感染症、デング熱、薬剤耐性菌、下痢症感染症、HTLV-1(ヒトT細胞白血病ウイルス1型)、ジカウイルス感染症など、国内外の様々な病原体に関する疫学的調査及び基盤的研究並びに予防接種の有効性及び安全性の向上に資する研究を実施し、感染症対策並びに診断薬、治療薬及びワクチン開発を一体的に推進する。

また、国内外の病原体に関する全ゲノムデータベースを構築することで、病原体情報をリアルタイムに共有し、感染症の国際的なリスクアセスメントを可能とする。また、集積された情報を分析することで、重点的なサーベイランスを実施するなど、感染症流行時の迅速な対応の促進を図る。

さらに、予防接種に関する基本的な計画、特定感染症予防指針、ストップ結核ジャパンアクションプラン及び「薬剤耐性(AMR)対策アクションプラン」(平成28年4月5日関係閣僚会議決定)等を踏まえ、病原体の薬剤ターゲット部位を同定すること等を通じ、新たな診断薬・治療薬・ワクチンのシーズの開発を実施する。これにより、国内のみならず、感染症が発生している海外の現地における予防・診断・治療等への貢献が可能となる。

また、国内の臨床医や若手の感染症研究者の育成を推進するため、感染症研究国際展開戦略プログラム(J-GRID)の海外拠点と国立感染症研究所等で研修プログラムを実施する。

さらに、2014年5月に採択されたWHOの結核対策に関する新戦略を受け、2020年までに我が国が低蔓延国入りできるよう、結核に関する研究を推進する。

また、2020年の東京オリンピック・パラリンピックに向け、感染症サーベイランスの強化に関する研究を促進する。

これらの取組を実施することにより、2020年頃までの達成目標として、

- ・得られた病原体(インフルエンザ、デング熱、下痢症感染症、薬剤耐性菌)の全ゲノムデータベース等を基にした、薬剤ターゲット部位の特定及び新たな迅速診断法等の開発・実用化
- ・ノロウイルスワクチン及び経鼻インフルエンザワクチンに関する臨床研究及び治験の実施並びに薬事承認の申請

を、2030年頃までの達成目標として、

- ・新たなワクチンの開発
(例:インフルエンザに対する万能ワクチン等)
- ・新たな抗菌薬・抗ウイルス薬等の開発
- ・WHO、諸外国と連携したポリオ、麻疹などの感染症の根絶・排除の達成
(結核については2050年までの達成目標)

を目指すものとする。

さらに、2014年5月に採択されたWHOの結核対策に関する新戦略を受け、2020年までに我が国が低蔓延国入りできるよう、結核に関する研究を推進する。

また、2020年の東京オリンピック・パラリンピックに向け、感染症サーベイランスの強化に関する研究を促進する。

「国際的に脅威となる感染症対策の強化に関する基本方針」(平成27年9月11日関係閣僚会議決定)及び「国際的に脅威となる感染症対策の強化に関する基本計画」(平成28年2月9日関係閣僚会議決定)等を踏まえて形成される高度安全実験施設を中核とした感染症研究拠点を活用する、危険性の高い病原体等の治療法、ワクチン等の研究開発を国の指示に基づき推進する。

これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、

- ・得られた病原体(インフルエンザ、デング熱、下痢症感染症、薬剤耐性菌)の全ゲノムデータベース等を基にした、薬剤ターゲット部位の特定及び新たな迅速診断法等の開発・実用化
- ・ノロウイルスワクチン及び経鼻インフルエンザワクチンに関する臨床研究及び治験の実施並びに薬事承認の申請

を、2030年までの達成目標として、

- ・新たなワクチンの開発
(例:インフルエンザに対する万能ワクチン等)
- ・新たな抗菌薬・抗ウイルス薬等の開発
- ・WHO、諸外国と連携したポリオ、麻疹などの感染症の根絶・排除の達成
(結核については2050年までの達成目標)

を目指すものとする。

⑨ **疾患に対応した研究<難病>**

希少・難治性疾患(難病)の克服を目指すため、患者数が希少ゆえに研究が進まない分野において、各省が連携して全ての研究プロセスで切れ目ない援助を行うことで、難病の病態を解明するとともに、効果的な新規治療薬の開発、既存薬剤の適応拡大等を一体的に推進する。

具体的には、**希少・難治性疾患(難病)**の克服を目指すため、治療法の開発に結びつくような新しい疾患の病因や病態解明を行う研究、医薬品、医療機器等の実用化を視野に入れた画期的な診断法や治療法及び予防法の開発を目指す研究を推進する。

また、疾患特異的iPS細胞を用いて疾患の発症機構の解明、創薬研究や予防・治療法の開発等を推進することにより、iPS細胞等研究の成果を速やかに社会に還元することを目指す。

これらの取組を実施することにより、**2020年頃**までの達成

目標として、

・新規薬剤の薬事承認や既存薬剤の適応拡大を11件以上達成

(ALS、遠位型ミオパチー等)

・欧米等のデータベースと連携した国際共同臨床研究及び治験の**推進**

を目指すものとする。

⑨ **疾患領域対応型統合プロジェクト<難病>**

難病の克服を目指すため、患者数が希少ゆえに研究が進まない分野において、各省が連携して全ての研究プロセスで切れ目ない援助を行うことで、難病の病態を解明するとともに、効果的な新規治療薬の開発、既存薬剤の適応拡大等を一体的に推進する。

具体的には、**難病**の克服を目指すため、治療法の開発に結びつくような新しい疾患の病因や病態解明を行う研究、医薬品、医療機器等の実用化を視野に入れた画期的な診断法や治療法及び予防法の開発を目指す研究を推進する**とともに、データネットワークや解析コンソーシアムの整備、診断委員会を運営する拠点病院の整備など希少・未診断疾患に対する全国規模の診断体制を構築するための研究を推進する。**

また、疾患特異的iPS細胞を用いて疾患の発症機構の解明、創薬研究や予防・治療法の開発等を推進することにより、iPS細胞等研究の成果を速やかに社会に還元することを目指す。

これらの取組を実施することにより、**2020年**までの達成目

標として、

・新規薬剤の薬事承認や既存薬剤の適応拡大を11件以上達成

(ALS、遠位型ミオパチー等)

・欧米等のデータベースと連携した国際共同臨床研究及び治験の**開始**

・未診断又は希少疾患に対する新規原因遺伝子又は新規疾患の発見を5件以上達成

を目指すものとする。

⑩ その他の健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発等

糖尿病などの生活習慣病、脳卒中を含む循環器疾患、呼吸器系疾患、筋骨格系・結合組織疾患及び泌尿器系疾患、高齢者の生活の質を大きく低下させる疾患、次世代を担う小児・周産期の疾患、エイズ、肝炎など多岐にわたる疾患等に対し、患者や社会のニーズ、医療上及び経済上のニーズをも十分に意識しつつ、先制医療や新たな医薬品や診断・治療方法の開発、医療機器等の開発等を推進する。

また、革新的な医薬品、医療機器等及び医療技術を創出することを目的に、客観的根拠に基づき設定する研究開発目標の達成に向け、画期的シーズの創出・育成に取り組む。

⑩ 健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発事業

統合プロジェクト以外の事業であって、複数の疾患領域における研究の基盤的な性質を有する研究開発であるなど横断的な取組を「横断型事業」、社会的・臨床的に医療上の必要性・重要性が高い疾患領域に関する取組を「疾患領域対応型事業」とする。各事業に関連した取組は以下のとおり。

<横断型事業>

各疾患領域における研究の基盤構築を目指した研究開発として、健康・医療戦略推進本部が中心となって行う横断的な検討に基づき、医療・介護等のデジタルデータの利活用基盤の構築を進めるとともに、収集された臨床ビッグデータを集積・共有し、人工知能技術を活用することによって、診療支援や新たな医薬品・医療技術等の創出に資する研究開発を推進する。

臨床現場で見出した課題を基礎研究に戻すリバースTRやヒト由来の臨床検体の使用等による産学官連携の循環型研究開発を活性化させる。

将来の医薬品、医療機器及び医療技術等の実現に向けて期待の高い、新たな画期的シーズの育成に向けた革新的先端研究開発を推進する。

幅広い研究開発を安定的かつ効果的に促進するため

<p>IV. 業務運営の効率化に関する事項 (1) 業務改善の取組に関する事項 ① 組織・人員体制の整備 AMEDに求められる機能(研究開発のマネジメント、研究不正の防止、臨床研究及び治験データマネジメント、実用化へ向けた支援、研究開発の基盤整備に対する支援、国際戦略の推進、政府出資を活用した産学官共同での医薬品・医療機器の研究開発の促進等)を果たすため、適切な組織・人員体制を整備することとする。また、関連する政策や医療分野の研究開発動向の変化、業務の進捗状況に応じ機動性・効率性が確保できるような柔軟な組織・人員体制を整備することとする。</p>	<p><u>に不可欠な生物資源等を戦略的・体系的に整備するとともに、研究開発等の国際展開を推進する。</u></p> <p><u><疾患領域対応型事業></u> <u>健康寿命延伸に向けて、ライフステージに応じた健康課題の克服という視点に立って、妊娠期・出産期、新生児期、乳児期、幼児期、学童期及び思春期の疾患、生殖に関わる課題、糖尿病などの生活習慣病、脳卒中を含む循環器系疾患、呼吸器系疾患、筋・骨・関節疾患、感覚器系疾患、泌尿器系疾患、エイズ・肝炎等の多岐にわたる疾患、フレイル等の高齢者の生活の質を大きく低下させる状態や疾患等に対し、患者や社会のニーズ、医療上及び経済上のニーズをも十分に意識しつつ、予防、診断、治療、生活の質の向上を目指す研究開発を推進する。さらに、高齢者に特有の疾患や老化・加齢メカニズムの解明・制御についての研究を推進する。</u></p> <p>IV. 業務運営の効率化に関する事項 (1) 業務改善の取組に関する事項 ① 組織・人員体制の整備 AMEDに求められる機能(研究開発のマネジメント(<u>データベースの構築を含む。</u>)、研究不正の防止、臨床研究及び治験データマネジメント、実用化へ向けた支援、研究開発の基盤整備に対する支援、国際戦略の推進、政府出資を活用した産学官共同での医薬品・医療機器の研究開発の促進等)を果たすため、適切な組織・人員体制を整備することとする。また、関連する政策や医療分野の研究開発動向の変化、業務の進捗状況に応じ機動性・効率性が確保できるような柔軟な組織・人員体制を整備することとする。</p>
---	---

<p>特に、AMEDにおけるマネジメントにおいて重要な役割を果たすPD、PO等、高度の専門性が必要とされる者については、産学官からの優れた人材の登用を積極的に行うこととする。また、利益相反の防止や透明性の確保にも配慮しつつ、外部人材を登用するものとする。</p> <p style="text-align: center;">(中略)</p> <p>別添：用語集</p> <p style="text-align: center;">(後略)</p>	<p>特に、AMEDにおけるマネジメントにおいて重要な役割を果たすPD、<u>PS</u>、PO等、高度の専門性が必要とされる者については、産学官からの優れた人材の登用を積極的に行うこととする。また、利益相反の防止や透明性の確保にも配慮しつつ、外部人材を登用するものとする。</p> <p style="text-align: center;">(中略)</p> <p>別添：用語集</p> <p><u>・メディカルアーツ</u> <u>医療の有効性、安全性、効率性のための技術又はシステム(例えば、外科、がん、看護、リハビリ等の新たな医療技術又はソフトウェアの開発など)</u></p> <p style="text-align: center;">(後略)</p>
---	---

平成 27 年 11 月 20 日変更

平成 28 年 12 月 12 日変更

平成〇年〇月〇日変更

国立研究開発法人日本医療研究開発機構

中長期目標（案）

平成 27 年 4 月

内 閣 府

文 部 科 学 省

厚 生 労 働 省

経 済 産 業 省

目次

I. 政策体系における法人の位置付け及び果たすべき役割.....	2
II. 中長期目標の期間.....	4
III. 研究開発の成果の最大化その他の業務の質の向上.....	4
(1) AMEDに求められる機能を発揮するための体制の構築等.....	4
(2) 基礎から実用化へ一貫してつなぐプロジェクトの実施.....	6
IV. 業務運営の効率化に関する事項.....	13
V. 財務内容の改善に関する事項.....	14
VI. その他業務運営に関する重要事項.....	14

独立行政法人通則法（平成 11 年法律第 103 号）第 35 条の 4 の規定により、国立研究開発法人日本医療研究開発機構が達成すべき業務運営に関する目標（以下「中長期目標」という。）を定める。

I. 政策体系における法人の位置付け及び果たすべき役割

我が国は、世界最高水準の平均寿命を達成し、人類誰もが願う長寿社会を現実のものとした。世界に先駆けて超高齢社会を迎える我が国にあって、国民が更に健康な生活及び長寿を享受することのできる社会（健康長寿社会）を形成することが急務となっている。

このような背景から、「日本再興戦略- JAPAN is BACK-」（平成 25 年 6 月 14 日 閣議決定）において、医療分野の研究開発の司令塔機能を創設することとされ、

- ① 医療分野の研究開発等の司令塔の本部として、内閣に、内閣総理大臣・担当大臣・関係閣僚から成る推進本部の設置
- ② 基礎から実用化まで切れ目ない研究管理の実務を行う独立行政法人の創設等の措置を講ずることが明記された。

平成 26 年 5 月、健康・医療戦略推進法及び独立行政法人日本医療研究開発機構法が成立し、国立研究開発法人日本医療研究開発機構（以下「AMED」という。）の設立を始め、我が国の医療分野の研究開発体制が新たに構築された。

具体的には、医療分野の研究開発の司令塔本部として、内閣に内閣総理大臣を本部長とし、全ての閣僚が本部員となる健康・医療戦略推進本部が設置され、

- ① 政府が総合的かつ長期的に講ずべき健康・医療に関する先端的研究開発及び新産業創出に関する施策の大綱等である健康・医療戦略及び当該戦略に即した医療分野研究開発推進計画を定め、
- ② 同戦略及び同計画の実施のために必要な、各省に計上されている医療分野の研究開発関連予算を集約すること及び内閣府に計上される「科学技術イノベーション創造推進費」の一部を活用した医療分野の研究開発関連の調整費により、司令塔機能の発揮に必要な予算を確保し、戦略的・重点的な予算配分を行い、
- ③ AMEDにおいては、健康・医療戦略推進本部の下、医療分野研究開発推進計画に基づき、基礎から実用化まで切れ目ない研究支援を一体的に行う。この際、基礎研究、臨床研究及び治験、創薬開発等の豊富な経験を有するプログラム・ディレクター（以下「PD」という。）、プログラム・スーパーバイザー（以下「PS」という。）、プログラム・オフィサー（以下「PO」という。）等の適切な配置を行い、実用化のための研究を基礎段階から一貫して一体的な管理を行うこととなっている。

医療分野の研究開発については、ヒトを研究対象として健康へ悪影響を及ぼしかねない臨床研究や医薬品医療機器等法に基づく承認申請が必要であるなど、他の研究分野にはな

い特殊性がある。

このため、実用化に向けた研究開発を効果的・効率的に実施するためには、専門知見を有する者による研究支援や医薬品医療機器等法に基づく承認というゴールを見据えた一貫した研究マネジメントを行う機能が不可欠である。

こうしたことから、医療分野の研究開発の特性に最適化された専門機関に医療分野の研究開発プログラムを集約し、基礎から実用化まで切れ目ない支援を実施できる独立行政法人を新たに設立することとしたものである。

AMEDは、医療分野研究開発推進計画において、医療分野の研究開発及びその環境整備の実施・助成について中核的な役割を担う機関として位置付けられており、医療分野の研究開発関連予算（国が定めた戦略に基づくトップダウンの研究を行うために、研究者や研究機関に配分される研究費等）を集約することにより、各省がそれぞれ実施してきた医療分野の研究開発について、

- ① 各省の枠を超えて、領域ごとに置かれるPD、PS、POを活用した、基礎から実用化までの一貫した研究管理、
- ② 知的財産の専門家による知的財産管理、知的財産取得戦略の立案支援や、臨床研究及び治験をサポートする専門のスタッフ等の専門人材による研究支援、
- ③ 研究費申請の窓口・手続の一本化等による、研究費等のワンストップサービス化等を図り、医療分野の研究開発を基礎から実用化まで切れ目ない研究支援を一体的に行うことが求められている。

このようなAMEDに期待されている役割（ミッション）が十分発揮され、世界最高水準の医療の提供、ひいては、健康長寿社会の形成に資することを期待しているものである。

※政策体系図は別紙のとおり。

II. 中長期目標の期間

AMEDの中長期目標の期間は、平成27年4月から平成32年3月までの5年間とする。

III. 研究開発の成果の最大化その他の業務の質の向上

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医療分野の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、研究開発法人その他の研究機関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の整備等の業務を行うことを目的としている。

このため、AMEDは、医療分野研究開発推進計画の着実な実現を図っていく必要がある。具体的には、中長期目標期間中に、

- (1) 医療に関する研究開発のマネジメントの実現などAMEDに求められる機能を発揮するための体制を構築する等とともに、
- (2) 医療分野において、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を図っていく必要がある。

なお、評価に当たっては、下記の目標を踏まえ別途定める評価軸等に基づき実施することとするが、医療分野の研究開発は、長期性や不確実性等といった特性に加え、ヒトを研究対象として健康へ悪影響を及ぼしかねない臨床研究や医薬品医療機器等法に基づく承認申請が必要であるなど、他の研究分野にはない特殊性があることを十分踏まえ、目標の達成度のみならず、達成に向けた過程や成果の影響度等を総合的に評価する。

(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の実現

各省の関連する研究開発事業を統合的に連携させ、1つのプロジェクトとして一元的に管理する「統合プロジェクト」など、AMEDにおいて実施される研究開発の成否は、プロジェクトマネジメントにかかっている。このため、患者や医療現場、産業界等からのニーズの把握や技術的可能性を評価し、現実的なビジョンの下に計画を常に見直すことのできるマネジメントを実現する。そのためには、優れたシーズを見出す目利き機能、臨床研究及び治験への橋渡しや実用化を実現するための産業界への導出に向けての企画力、規制対応等の周到な準備と研究者を支援・指導する牽引力が求められる。

具体的には、患者や医療現場、研究者、産業界等からのニーズの把握等のためのア

ドバイザリーボードを理事長の下に置くとともに、国内外の動向を把握、評価し、テーマを抽出するための専門家によるシンクタンク機能を備える。また、個別研究課題の選定においてピア・レビューを行うための評価委員会を設置し、評価の質及び公正性・透明性の一層の向上を図り、成果が見込まれる適切な研究課題を選定する。世界の最新の情勢を把握したPD、PS、PO等がこれを活用した研究の実施、研究動向の把握・調査、シーズの探査・育成研究の強化（スクリーニングや最適化研究）や優れた基礎研究成果を臨床研究及び治験、産業化へつなげる一貫したマネジメント（研究の進捗管理・助言、規制対応等）及び適切な研究実施のための監視・管理機能など、研究開発の開始、推進、監視・管理、さらには、方針の転換に至るまで一元的かつ一貫したプロジェクトマネジメント機能を果たすものとする。

また、医療研究開発を円滑に促進するために、AMEDから交付される研究費について現場で効果的に使えるよう、調整費の活用や研究機器の合理的使用など工夫を行う。

さらに、効果的な研究開発を行う上で、研究開発に係る情報の集約及び分析、それに基づく研究開発マネジメントが重要である。従って、AMEDが実施する課題を始めとする関連研究開発のデータベースを構築し、ファンディングに係るマネジメント等への活用を図る。また、ピア・レビューの方法や研究開発提案書について、国際的知見の収集等を行い、国際的視点も意識しつつ、これまで各分野で異なっていた評価システムの共通化を進める。

② 研究不正防止の取組の推進

基礎研究及び臨床研究における不正防止の取組を推進するため、専門の部署を置き、自らが配分する研究費により実施される研究に対して、公正かつ適正な実施の確保を図るとともに、業務を通じた医療分野の研究開発に関する研究不正の防止に関するノウハウの蓄積及び専門的な人材の育成に努める。

③ 臨床研究及び治験データマネジメントの実行

推進する研究については、臨床研究及び治験に係る計画書（プロトコール）の策定、研究の進捗状況の把握、研究データの管理（データ入力、集計、解析）、研究成果や知的財産の管理等の研究マネジメントを効率的に実施する方策を検討し、その実行に向けた取組を行う。

④ 実用化へ向けた支援

知的財産管理・相談窓口、知的財産取得戦略の立案支援等の知的財産取得に向けた研究機関への支援機能や、2015年8月に連携協定を締結した独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）と連携した有望シーズの出口戦略の策定に係る助言や企業への情報提供・マッチング、知的財産の導出（ライセンスアウト）及びワンストップサービスの提供等といった実用化に向けた企業連携・産学連携を支援する機能の具備

を図る。また、研究開発の成果が、我が国の医療技術水準や産業競争力の向上に寄与することができるよう、2016年3月に相互協力協定を締結した株式会社産業革新機構との連携等を通じて研究開発の成果の実用化を促進する取組を行う。

⑤研究開発の基盤整備に対する支援

新たなバイオマーカーを探索・解明することで実現する革新的な診断技術・機器、既知のマーカーを取り扱いやすく、非侵襲、低侵襲で、正確かつ低コストで測定できる診断技術や機器をシームレスに開発するための体制整備、革新的医療技術創出拠点の強化・体制整備やエビデンスに基づいた予防医療・サービス手法を開発するためのバイオバンク等の強化及びモデル動物等のバイオリソースの整備等を行う。

AMEDの研究開発の成果が、可能な限り広く共有され、医療分野の研究開発の更なる促進に活用されるよう、その利活用に向けたデータベース化を推進する。

⑥国際戦略の推進

最先端分野における欧米等の研究開発先進国との協力、ゲノム研究におけるアジア諸国との連携をはじめ国際貢献及び協力は、同時に、我が国の研究開発にとっても必要不可欠なものとなっており、ひいては世界の持続可能な発展につながるものである。産業化の視点では、画像診断分野において、医療への貢献、海外展開を加速する。加えて、相手国の実情とニーズに適した医療サービスの提供や制度開発等の協力を通じて、真に相手国の医療の発展に寄与する持続的な事業展開を意識した日本の産業競争力の強化を図る必要がある。さらに、地球規模課題としての保健医療（グローバルヘルス）を日本外交の重要課題と位置付け、日本の知見等を総動員し、世界の全ての人々が基本的保健医療サービスを負担可能な費用で享受すること（ユニバーサル・ヘルス・カバレッジ）も求められる。

このような認識の下、国際的な研究開発動向を踏まえ、我が国にとって真に価値のある国際共同研究を推進することによって国民に最高水準の医療を提供することが必要である。また、国際的にも貢献するため、グローバルなデータシェアリングへの戦略的な対応（例えば、難病・未診断疾患に関する情報を共有・分析する連携体制の構築など）を行う。さらに、我が国の医療に係る研究能力を活用して国際的にも貢献するため、AMEDは、主要な海外ファンディング機関との協力協定の下、医療分野における研究開発の中核的な都市に置いた海外事務所（米国、英国、シンガポール）を活用しつつ、共同研究の推進・調整や情報収集・発信等を行っていく。

⑦政府出資を活用した産学官共同での医薬品・医療機器の研究開発の促進等

政府出資を活用し、革新的な医薬品・医療機器等の創出に向けて、産学官が連携して取り組む研究開発及びその環境の整備を促進する。

当該事業を進めるに当たっては、実用化が困難な革新的医薬品・医療機器等の実用化開発の不確実性を踏まえ、研究開発に係る事業計画・事業目標を含む事業採択のた

めの審査、事業の進捗状況の確認や進捗過程における課題の相談、事業終了時の事業目標等の達成状況等の評価など、政府出資を活用して研究開発等を支援するために必要な実施体制を構築する。また、その進捗状況については、内閣府、文部科学省、厚生労働省及び経済産業省（以下「所管府省」という。）に適宜報告するとともに、所管府省から改善を求められた場合には、これに適切に対応する。

（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

医療分野研究開発推進計画（平成26年7月22日健康・医療戦略推進本部決定、平成〇年〇月〇日一部変更。以下「推進計画」という。）は、基礎研究からの優れたシーズを見出し、これを実用化へ一貫してつなぐ、具体的な成果を目指すものである。このため、取組の当初から、臨床研究及び治験への橋渡しや産業界への導出に向けた戦略と周到的な準備に基づく実施が求められる。

AMEDは、これまでの研究開発によるシーズ等の活用も含めて、推進計画に掲げている複数の疾患領域における研究の基盤的な性質を有する研究開発であるなど横断的な取組である「横断型統合プロジェクト」（医薬品創出、医療機器開発、革新的な医療技術創出拠点、再生医療、オーダーメイド・ゲノム医療）や社会的・臨床的に必要性・重要性が高い疾患領域に関する取組を「疾患領域対応型統合プロジェクト」（がん、精神・神経疾患、新興・再興感染症、難病）において達成すべき成果目標（KPI）を設定等し、その達成に向けて、個々の研究開発の開始・方針の転換等について権限と裁量を、統合プロジェクトごとに置くPDに付与し、PDの下に各研究チームが、出口を見据えて、シーズの探索・選択や個々のシーズごとの戦略に基づく開発研究を行うとともに、当該プロジェクトの進捗管理・レビューを的確に実施し、シーズが頓挫した場合にはそれに替わる新たなシーズを随時選択することで、各チームの下で常に複数のシーズの開発研究が行われるようなマネジメントを構築する。

また、医療の有効性、安全性及び効率性の観点から医療に変革をもたらすための技術やシステム（メディカルアーツ）の開発及び普及に関する研究を本格的に推進する。

さらに、リスクはあるが、飛躍的な可能性を秘めた課題に対しても、画期的なイノベーションの実現を目指す支援を行うことが期待される。

これらの統合プロジェクトの推進に当たっては、疾患の基礎研究の発展を図りつつ、研究の急激な進捗や、関係する科学技術の画期的な発展等に機動的に対応できるような資源配分やマネジメント、レギュラトリーサイエンスの充実を実現する。

以下の統合プロジェクト等を互いに連携して研究開発を推進していくため、適切な進捗管理等を通じて必要な対応を図る。

推進計画に掲げられている統合プロジェクト等ごとの目標は下記のとおりであるが、これらは、健康・医療戦略推進本部が決定した推進計画において目標を掲げていることから、いずれも重要度、優先度等は高いものである。

① 医薬品創出

具体的には、創薬支援ネットワークの構築や創薬等ライフサイエンス研究支援基盤事業などの医薬品創出のための支援基盤の整備により、大学や産業界と連携しながら、新薬創出に向けた研究開発を支援するとともに、創薬支援のための基盤強化を図る。また、創薬ターゲットの同定に係る研究、創薬の基盤となる技術開発、医療技術の実用化に係る研究を推進し、革新的医薬品及び希少疾患治療薬等の開発を支援する。医薬品の実用化支援については、最新の特許関連情報データベースを活用しつつ、創薬支援コーディネーターチ

ームの目利き評価により大学等で生み出された研究成果から有望シーズを選抜し、創薬支援ネットワークが保有する創薬支援資源を集中的に投下することにより、応用ステージ(スクリーニング、最適化研究、非臨床試験)を中心に、革新的新薬の創出を目指したオールジャパンでの強力な支援を行う。

これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、

- ・相談・シーズ評価 1500 件
- ・有望シーズへの創薬支援 200 件
- ・企業への導出(ライセンスアウト) 5 件
- ・創薬ターゲットの同定 10 件

を目指すものとする。

② 医療機器開発

我が国発の優れた医療機器について、医療ニーズを確実に踏まえて、日本の強みとなるものづくり技術も生かしながら、開発・実用化を推進し、研究開発から実用化につなげる体制整備を進める。

具体的には、計画において設定された成果目標(医療機器の輸出額を倍増、国内医療機器市場規模の拡大等)の実現に向け、医工連携による医療機器開発を促進する。医療機器開発は医療現場のニーズを取り込むことが重要であることや医薬品医療機器等法対応等において課題があるため、各省・専門支援機関(産業技術総合研究所、公益財団法人医療機器センター等)・地域支援機関・医療機関・学会等の連携による開発支援体制(医療機器開発支援ネットワーク)を強化し、その中核的役割を果たす医工連携並びに産学連携のハブとして機能を整備するとともに、我が国の高い技術力を生かし、医療機器の開発・事業化を加速する。併せて、事業化人材・伴走コンサル人材の育成、国際標準化、知財強化を進める。

これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、我が国発の優れた医療機器について、医療ニーズを確実に踏まえて、日本の強みとなるものづくり技術も生かしながら、開発・実用化を推進し、研究開発から実用化につなげる体制整備を進める。

具体的には、大学等の基礎研究成果を一貫して実用化につなぐ体制を構築するため、当該プロジェクトにおける、橋渡し研究支援拠点、臨床研究中核病院等の一体化を進めるとともに、人材確保・育成を含めた拠点機能の強化・特色化、ネットワーク化、オープンアクセス化及びシーズの拡大を更に推進する。また、ICH-GCP準拠の国際水準の質の高い臨床研究や医師主導治験を実施するとともに、ARO機能を持ち、多施設共同研究の支援を行う施設としてこれら拠点の整備を進める。なお、ARO機能の更なる活用のため、各医療機関が有するARO機能について客観的な評価も行う。

これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、

- ・5種類以上の革新的医療機器の実用化
- ・医工連携による医療機器開発件数 100 件
- ・医療機器の実用化による成果 約 1,500 億円

を目指すものとする。

③ 革新的な医療技術創出拠点

具体的には、大学等の基礎研究成果を一貫して実用化につなぐ体制を構築するため、当該

プロジェクトにおける、橋渡し研究支援拠点、臨床研究中核病院等の一体化を進めるとともに、人材確保・育成を含めた拠点機能の強化・特色化、ネットワーク化、オープンアクセス化及びシーズの拡大を更に推進する。また、ICH-GCP準拠の国際水準の質の高い臨床研究や医師主導治験を実施するとともに、ARO機能を持ち、多施設共同研究の支援を行う施設としてこれら拠点の整備を進める。なお、ARO機能の更なる活用のため、各医療機関が有するARO機能について客観的な評価も行う。

これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、

- ・ 医師主導治験届出数 年間 40 件
- ・ First in Human (F I H) 試験（企業治験を含む）年間 40 件

を目指すものとする。

④ 再生医療

基礎から臨床段階まで切れ目なく一貫した支援を行うとともに、再生医療関連事業のための基盤整備並びに、i P S細胞等の創薬支援ツールとしての活用に向けた支援を進め、新薬開発の効率性の向上を図る。

具体的には、i P S細胞等を用いた再生医療の迅速な実現に向けて、安全なi P S細胞の提供に向けた取組、幹細胞操作技術等のi P S細胞等の実用化に資する技術の開発・共有、再生医療の基礎研究・非臨床試験の推進等を実施する。また、再生医療の臨床研究及び治験の推進や再生医療等製品の安全性評価手法の開発等を行う。さらに、再生医療の実現を支える産業基盤を構築する。

また、新薬開発の効率性の向上を図るために、連携してi P S細胞等を用いた創薬等研究を支援する。また、i P S細胞技術を応用した心毒性評価手法の開発及び国際標準化への提案を行う。さらに、幹細胞による創薬支援の実現を支える産業基盤を構築する。

これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、

- ・ i P S細胞技術を活用して作製した新規治療薬の臨床応用 (臨床研究又は治験の開始)
- ・ 再生医療等製品の薬事承認数の増加
- ・ 臨床研究又は治験に移行する対象疾患の拡大 35件
- ・ 再生医療関係の周辺機器・装置の実用化
- ・ i P S細胞技術を応用した医薬品心毒性評価法の国際標準化への提言

を目指すものとする。

⑤ オーダーメイド・ゲノム医療

急速に進むゲノムレベルの解析技術の進展を踏まえ、疾患と遺伝的要因や環境要因等の関連性の解明の成果を迅速に国民に還元するため、解析基盤の強化を図るとともに、特定の疾患の解明及びこれに対する臨床応用の推進を図る。その際、ゲノム医療の実現には時間を要することから、長期的視点に立って戦略的に推進する。

具体的には、疾患及び健常者バイオバンクを構築すると共にゲノム解析情報及び臨床情報等を含めたデータ解析を実施し、疾患の発症原因や薬剤反応性等の関連遺伝子の同定・検証及び日本人の標準ゲノム配列の特定を進める。また、共同研究やゲノム付随研究等の実施により、難治性・希少性疾患等の原因遺伝子の探索を図るとともに、ゲノム情報を生かした革新的診断治療ガイドラインの策定に資する研究を推進する。さらに、ゲノム医療実現に向けた研究基盤の整備やゲノム医療提供体制の構築を図るための試行的・実証的な臨床研究を推進する。

これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、

- ・糖尿病などに関するリスク予測や予防、診断（層別化）や治療、薬剤の選択・最適化等に係るエビデンスの創出
- ・発がん予測診断、抗がん剤等の治療反応性や副作用の予測診断に係る臨床研究の開始
- ・認知症・感覚器系領域のゲノム医療に係る臨床研究の開始
- ・神経・筋難病等の革新的な診断・治療法に係る臨床研究の開始

を目指すものとする。2020年までに、上記の達成目標のうち少なくとも1つ以上達成することを目指すものとする。

⑥ 疾患領域対応型統合プロジェクト<がん>

がん対策推進基本計画（平成24年6月8日閣議決定）に基づき策定された「がん研究10か年戦略」（平成26年3月関係3大臣確認）を踏まえ、関係省の所管する研究関連事業の連携の下、がんの本態解明等に係る基礎研究から実用化に向けた研究まで一体的に推進する。

具体的には、我が国でリードすべき基礎研究の有望な成果を厳選し、実用化に向けた医薬品、医療機器を開発する研究を推進し、臨床研究及び治験へ導出するとともに、臨床・ゲノム情報基盤を整備しビッグデータを活用することによって個別化医療の実現、国際的な貢献を果たす。また、臨床研究及び治験で得られた臨床データ等を基礎研究等に還元し、医薬品、医療機器の開発を始めとするがん医療の実用化を加速する。

これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、

- ・日本発の革新的ながん治療薬の創出に向けた10種類以上の治験への導出
- ・小児がん、難治性がん、希少がん等に関して、未承認薬・適応外薬を含む治療薬の実用化に向けた12種類以上の治験への導出
- ・小児がん、希少がん等の治療薬に関して1種類以上の薬事承認・効能追加
- ・小児がん、難治性がん、希少がん等のドラッグ・ラグ、デバイス・ラグ（開発ラグ）の解消に向けた、国際基準に準拠した臨床研究等の推進
- ・小児・高齢者のがん、希少がんに対する標準治療の確立に向けた、ガイドライン（3件以上）作成に資する多施設共同臨床試験の実施

を目指すものとする。

⑦ 疾患領域対応型統合プロジェクト<精神・神経疾患>

認知症やうつ病などの精神・神経疾患等の発症に関わる脳神経回路・機能の解明に向けた研究開発及び基盤整備を各省連携の下に強力に進めることにより、革新的診断・予防・治療法を確立し、精神・神経疾患等を克服する。

具体的には、脳全体の神経回路の構造・機能の解明やバイオマーカー開発に向けた研究開発及び疾患の特性を踏まえた臨床研究の基盤整備等を推進するとともに、認知症やうつ病などの精神・神経疾患等の発症メカニズム解明、診断法、適切な治療法の確立を目指す。

これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、

- ・認知症の診断・治療効果に資するバイオマーカーの確立（臨床POC取得1件以上）
- ・日本発の認知症の疾患修飾薬候補の治験開始
- ・精神疾患の客観的診断法の確立（臨床POC取得4件以上、診療ガイドライン策定5件以上）
- ・精神疾患の適正な薬物治療法の確立（臨床POC取得3件以上、診療ガイドライン策定5件以上）
- ・脳全体の神経回路の構造と活動に関するマップの完成

を目指すものとする。

⑧ 疾患領域対応型統合プロジェクト〈新興・再興感染症〉

新型インフルエンザなどの感染症から国民及び世界の人々を守るため、感染症に関する国内外での研究を各省連携して推進するとともに、その成果をより効率的・効果的に治療薬・診断薬・ワクチンの開発等につなげることで、感染症対策を強化する。

具体的には、インフルエンザ、結核、動物由来感染症、デング熱、薬剤耐性菌、下痢症感染症、HTLV-1（ヒトT細胞白血病ウイルス1型）、ジカウイルス感染症など、国内外の様々な病原体に関する疫学的調査及び基盤的研究並びに予防接種の有効性及び安全性の向上に資する研究を実施し、感染症対策並びに診断薬、治療薬及びワクチン開発を一体的に推進する。

また、国内外の病原体に関する全ゲノムデータベースを構築することで、病原体情報をリアルタイムに共有し、感染症の国際的なリスクアセスメントを可能とする。また、集積された情報を分析することで、重点的なサーベイランスを実施するなど、感染症流行時の迅速な対応の促進を図る。

さらに、予防接種に関する基本的な計画、特定感染症予防指針、ストップ結核ジャパンアクションプラン及び「薬剤耐性（AMR）対策アクションプラン」（平成28年4月5日関係閣僚会議決定）等を踏まえ、病原体の薬剤ターゲット部位を同定すること等を通じ、新たな診断薬・治療薬・ワクチンのシーズの開発を実施する。これにより、国内のみならず、感染症が発生している海外の現地における予防・診断・治療等への貢献が可能となる。

また、国内の臨床医や若手の感染症研究者の育成を推進するため、感染症研究国際展開戦略プログラム（J-GRID）の海外拠点と国立感染症研究所等で研修プログラムを実施する。

さらに、2014年5月に採択されたWHOの結核対策に関する新戦略を受け、2020年までに我が国が低蔓延国入りできるよう、結核に関する研究を推進する。

また、2020年の東京オリンピック・パラリンピックに向け、感染症サーベイランスの強化に関する研究を促進する。

「国際的に脅威となる感染症対策の強化に関する基本方針」（平成27年9月11日関係閣僚会議決定）及び「国際的に脅威となる感染症対策の強化に関する基本計画」（平成28年2月9日関係閣僚会議決定）等を踏まえて形成される高度安全実験施設を中核とした感染症研究拠点を活用する、危険性の高い病原体等の治療法、ワクチン等の研究開発を国の指示に基づき推進する。

これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、

- ・得られた病原体（インフルエンザ、デング熱、下痢症感染症、薬剤耐性菌）の全ゲノムデータベース等を基にした、薬剤ターゲット部位の特定及び新たな迅速診断法等の開発・実用化
- ・ノロウイルスワクチン及び経鼻インフルエンザワクチンに関する臨床研究及び治験の実施並びに薬事承認の申請

を、2030年までの達成目標として、

- ・新たなワクチンの開発
（例：インフルエンザに対する万能ワクチン等）
- ・新たな抗菌薬・抗ウイルス薬等の開発
- ・WHO、諸外国と連携したポリオ、麻疹などの感染症の根絶・排除の達成
（結核については2050年までの達成目標）

を目指すものとする。

⑨ 疾患領域対応型統合プロジェクト〈難病〉

難病の克服を目指すため、患者数が希少ゆえに研究が進まない分野において、各省が連携して全ての研究プロセスで切れ目ない援助を行うことで、難病の病態を解明するとともに、効果的な新規治療薬の開発、既存薬剤の適応拡大等を一体的に推進する。

具体的には、難病の克服を目指すため、治療法の開発に結びつくような新しい疾患の病因や病態解明を行う研究、医薬品、医療機器等の実用化を視野に入れた画期的な診断法や治療法及び予防法の開発を目指す研究を推進するとともに、データネットワークや解析コンソーシアムの整備、診断委員会を運営する拠点病院の整備など希少・未診断疾患に対する全国規模の診断体制を構築するための研究を推進する。

また、疾患特異的 i P S 細胞を用いて疾患の発症機構の解明、創薬研究や予防・治療法の開発等を推進することにより、i P S 細胞等研究の成果を速やかに社会に還元することを目指す。

これらの取組を実施することにより、2020年までの達成目標として、

- ・新規薬剤の薬事承認や既存薬剤の適応拡大を11件以上達成
(ALS、遠位型ミオパチー等)
- ・欧米等のデータベースと連携した国際共同臨床研究及び治験の開始
- ・未診断又は希少疾患に対する新規原因遺伝子又は新規疾患の発見を5件以上達成

を目指すものとする。

⑩ 健康・医療戦略の推進に必要となる研究開発事業

統合プロジェクト以外の事業であって、複数の疾患領域における研究の基盤的な性質を有する研究開発であるなど横断的な取組を「横断型事業」、社会的・臨床的に医療上の必要性・重要性が高い疾患領域に関する取組を「疾患領域対応型事業」とする。各事業に関連した取組は以下のとおり。

<横断型事業>

各疾患領域における研究の基盤構築を目指した研究開発として、健康・医療戦略推進本部が中心となって行う横断的な検討に基づき、医療・介護等のデジタルデータの利活用基盤の構築を進めるとともに、収集された臨床ビッグデータを集積・共有し、人工知能技術を活用することによって、診療支援や新たな医薬品・医療技術等の創出に資する研究開発を推進する。

臨床現場で見出した課題を基礎研究に戻すリバースTRやヒト由来の臨床検体の使用等による産学官連携の循環型研究開発を活性化させる。

将来の医薬品、医療機器及び医療技術等の実現に向けて期待の高い、新たな画期的シーズの育成に向けた革新的先端研究開発を推進する。

幅広い研究開発を安定的かつ効果的に促進するために不可欠な生物資源等を戦略的・体系的に整備するとともに、研究開発等の国際展開を推進する。

<疾患領域対応型事業>

健康寿命延伸に向けて、ライフステージに応じた健康課題の克服という視点に立って、妊娠期・出産期、新生児期、乳児期、幼児期、学童期及び思春期の疾患、生殖に関わる課題、糖尿病などの生活習慣病、脳卒中を含む循環器系疾患、呼吸器系疾患、筋・骨・関節疾患、感覚器系疾患、泌尿器系疾患、エイズ・肝炎等の多岐にわたる疾患、フレイル等の高齢者の生活の質を大きく低下させる状態や疾患等に対し、患者や社会のニーズ、医療上及び経済上のニーズをも十分に意識しつつ、予防、診断、治療、生活の質の向上を目指す研究開発を推進する。さらに、高齢者に特有の疾患や老化・加齢メカニズムの解明・制御についての研究を推進する。

IV. 業務運営の効率化に関する事項

(1) 業務改善の取組に関する事項

① 組織・人員体制の整備

AMEDに求められる機能(研究開発のマネジメント(データベースの構築を含む。)、研究不正の防止、臨床研究及び治験データマネジメント、実用化へ向けた支援、研究開発の基盤整備に対する支援、国際戦略の推進、政府出資を活用した産学官共同での医薬品・医療機器の研究開発の促進等)を果たすため、適切な組織・人員体制を整備することとする。また、関連する政策や医療分野の研究開発動向の変化、業務の進捗状況に応じ機動性・効率性が確保できるような柔軟な組織・人員体制を整備することとする。

特に、AMEDにおけるマネジメントにおいて重要な役割を果たすPD、PS、PO等、高度の専門性が必要とされる者については、産学官からの優れた人材の登用を積極的に行うこととする。また、利益相反の防止や透明性の確保にも配慮しつつ、外部人材を登用するものとする。

② PDCAサイクルの徹底

AMEDで行っている事業については厳格な評価を行い、不断の業務改善を行うこととする。評価に当たっては、外部の専門家・有識者を活用するなど適切な体制を構築することとする。また、評価結果をその後の事業改善にフィードバックするなど、PDCAサイクルを徹底する。

③ 適切な調達の実施

調達案件については、主務大臣や契約監視委員会によるチェックの下、一般競争入札を原則としつつも、随意契約できる事由を会計規程等において明確化し、公正性・透明性を確保しつつ、合理的な調達を実施する。公正かつ透明な調達手続による適切で、迅速かつ効果的な調達を実現する観点から、AMEDが策定した「調達等合理化計画」に基づく取組を着実に実施する。

④ 外部能力の活用

費用対効果、専門性等の観点から、AMED自ら実施すべき業務、外部の専門機関の活用が適切と考えられる業務を精査し、外部の専門機関の活用が適切と考えられる業務については、外部委託を活用するものとする。

⑤ 業務の効率化

運営費交付金を充当して行う事業については、新規に追加されるもの、拡充分等は除外した上で、一般管理費(人件費、公租公課等の所要額計上を必要とする経費及び特殊要因により増減する経費を除く。)は毎年度平均で2%以上、事業費は毎年度平均で1%以上の効率化を達成する。

また、総人件費については、政府の方針に従い、必要な措置を講じるものとする。

さらに、給与水準については、ラスパイレス指数、役員報酬、給与規程、俸給表及び

総人件費を公表するとともに、国民に対して納得が得られるよう説明することとする。
また、給与水準の検証を行い、これを維持する合理的な理由がない場合には必要な措置を講じることにより、給与水準の適正化に取り組み、その検証結果や取組状況を公表するものとする。

(2) 業務の電子化に関する事項

電子化の促進等により事務手続きの簡素化・迅速化を図るとともに、AMEDの制度利用者の利便性の向上に努めることとする。また、幅広いICT需要に対応できるAMED内情報ネットワークの充実を図ることとする。情報システム、重要情報への不正アクセスに対する十分な強度を確保するとともに、震災等の災害時への対策を確実に行うことにより、業務の安全性、信頼性を確保することとする。

このため、「独立行政法人等の業務・システム最適化実現方策」（平成17年6月29日各府省情報統括化責任者（CIO）連絡会議決定）を踏まえ、業務・システム最適化計画を策定するとともに、当該計画に基づき、業務・システムの最適化を実施するものとする。

V. 財務内容の改善に関する事項

(1) 運営費交付金の適切な執行に向けた取組

各年度期末における運営費交付金債務に関し、その発生要因等を厳格に分析し、減少に向けた努力を行うこととする。

(2) 保有資産の処分等

AMEDが保有する資産については、有効活用を推進するとともに、不断の見直しを行い保有する必要がなくなったものについては廃止等を行う。

VI. その他業務運営に関する重要事項

(1) 内部統制に係る体制の整備

内部統制については、法人の長によるマネジメントを強化するための有効な手段の一つであることから、法人の長による法人運営の基本理念／運営方針／職員の行動憲章を定めるなど、必要な取組を推進する。この際、「独立行政法人の業務の適正を確保するための体制等の整備」（平成26年11月28日付け総務省行政管理局長通知）等に通知した事項を参考にすることとする。

(2) コンプライアンスの推進

AMEDが医療分野の研究開発等の中核的な役割を果たしていくためには、独立行政法人制度や国の制度等の法令等様々なルールを遵守し適切に行動していく必要がある。こ

のため、コンプライアンス体制について、必要な規程を整備するとともに、定期的な取組状況の点検や職員の意識浸透状況の検証を行い、適宜必要な見直しを行う。

(3) 情報公開の推進等

AMEDの適正な業務運営及び国民からの信頼を確保するため、適切かつ積極的に情報の公開を行うとともに、個人情報の適切な保護を図る取組を推進する。具体的には、独立行政法人等の保有する情報の公開に関する法律（平成13年法律第140号）及び個人情報の保護に関する法律（平成15年法律第57号）に基づき、適切に対応するとともに、職員への周知徹底を行う。

(4) 情報セキュリティ対策の推進

政府の情報セキュリティ対策における方針（情報セキュリティ対策推進会議の決定等）を踏まえ、研修を行う等、適切な情報セキュリティ対策を推進する。

(5) 職員の意欲向上と能力開発等

個人評価においては、適切な目標を設定し、その達成状況を多面的かつ客観的に適切にレビューすることにより、評価結果を賞与や昇給・昇格に適切に反映させるとともに、職員の勤労意欲の向上を図ることとする。また、職員の能力開発を図るため、業務を行う上で必要な知識の取得に向けた研修の機会を設けるなど、当該業務実施に必要な知識等の獲得に資する能力開発に努めるものとする。

また、女性の活躍を促進するための取組を推進する。

別添：用語集

- ・ A R O : Academic Research Organization の略

研究機関、医療機関等を有する大学等がその機能を活用して医薬品開発等を支援する組織

- ・ F I H : First in human の略

医薬品、医療機器等の臨床研究及び治験において人に初めて投与（使用）すること

- ・ G C P : Good Clinical Practice の略

医薬品、医療機器等の承認申請の際に提出すべき資料収集等のために行われる臨床研究及び治験が、十分な倫理的配慮の下に科学的に適正に実施されるために必要な事項を定めたもの

- ・ I C H : International Conference on Harmonization of Technical Requirements for Registration of Pharmaceuticals for Human Use の略

日米 EU 医薬品規制調和国際会議

- ・ I C T : Information and Communication Technology の略

情報通信技術

- ・ P M D A : Pharmaceuticals and Medical Devices Agency の略

独立行政法人医薬品医療機器総合機構。国民保健の向上に貢献することを目的として、医薬品の副作用等による健康被害に対する迅速な救済、医薬品・医療機器等の品質・有効性・安全性に対する審査、市販後の安全性に関する情報の収集・分析・提供を行っている。

- ・ ゲノム

遺伝子（gene）と染色体（chromosome）から合成された言葉で、DNAの全ての遺伝情報のこと

- ・ ゲノム医療

ヒトの遺伝情報（ゲノム情報）を利用して、個々の患者の薬剤に対する反応性や副作用を予測したり、患者ごとの罹患予想に基づいた予防等を行う医療

- ・ 治験

医薬品や医療機器等の製造販売承認申請に際して提出するべき資料のうち、臨床試験の試験成績に関する資料の収集を目的として実施する臨床試験

- ・バイオマーカー

客観的に測定され、評価される特性値であり、正常な生物学的プロセス、病理学的プロセス、又は治療的処置に対する薬理学的反応の指標

- ・バイオリソース

研究に使われる実験動物や植物、細胞や遺伝子、微生物等のこと

- ・ピア・レビュー

専門分野の近い複数の研究者による審査

- ・非臨床試験

臨床研究及び治験へと進むために、品質、有効性及び安全性を評価・証明するための科学的データを提供するものであり、動物を使った試験や、細胞培養等を用いた試験管内試験のこと

- ・臨床研究

医療における疾病の予防方法、診断方法及び治療方法の改善、疾病原因及び病態の理解並びに患者の生活の質の向上を目的として実施される医学系研究であって、人を対象とするもの

・メディカルアーツ

医療の有効性、安全性、効率性のための技術又はシステム（例えば、外科、がん、看護、リハビリ等の新たな医療技術又はソフトウェアの開発など）

- ・レギュラトリーサイエンス

科学技術の成果を人と社会に役立てることを目的に、根拠に基づく的確な予測、評価、判断を行い、科学技術の成果を人と社会との調和の上で最も望ましい姿に調整するための科学。（第4期科学技術基本計画）特に、医薬品、医療機器などの分野については、医療分野の研究開発の成果の実用化に際し、その品質、有効性及び安全性を科学的知見に基づき適正かつ迅速に予測、評価及び判断することに関する科学（健康・医療戦略推進法第13条第2項）

健康・医療戦略の推進に係る政策体系図

健康・医療戦略推進本部

- ①健康・医療戦略の案の作成及び実施の推進
- ②医療分野研究開発推進計画の作成及び実施の推進
- ③医療分野の研究開発等の資源配分方針
- ④AMEDの理事長・監事の任命及び中長期目標の策定に当たっての主務大臣への意見 等

健康・医療戦略（閣議決定）

- ・ 政府が総合的かつ長期的に講ずべき(1)及び(2)に関する施策の大綱
- ・ その他、(1)及び(2)に関する施策を総合的かつ計画的に推進するために必要な事項

(1)医療分野の研究開発とその環境整備・成果の普及
(2)健康長寿社会形成に資する新たな産業活動の創出・活性化(国際展開等)とその環境整備

省庁横断的な
総合調整

健康・医療戦略に即して、
医療分野の研究開発等について
具体的な計画を本部で決定

医療分野の研究開発とその環境整備・成果の普及

各府省

医療分野研究開発推進計画（本部決定）

- ・ 医療分野の研究開発等に関する施策についての基本的な方針
- ・ 医療分野の研究開発等について政府が集中的かつ計画的に講ずべき施策
- ※AMEDが医療分野の研究開発等の実施・助成において中核的な役割を担うよう作成

予算を始めとした総
合調整

推進計画に基づき、
AMEDの業務運営の基本
方針（本部決定）を提示

日本医療研究開発機構
(AMED)

推進計画及び毎年度の予算の基本方針に
基づき、AMEDへの財源措置
(文科・厚労・経産等)