

本館棟

For system building to support child-rearing
子育てを支えるシステムづくりのために



平成30年度実績評価説明資料

(平成30年4月1日～平成31年3月31日)

研究棟

健全な次世代を育成する社会

国立成育医療研究センターは、十分に自己主張できない子どもの代わりになって行動を起こすことを念頭に、「人のライフサイクル」の過程に生じるさまざまな健康問題に関する医療と研究を推進します。

目 次

| 評価 番号 | 内 容・評価項目 | | 自己評価 | 頁 |
|----------|----------------------------------|----------------------------------|------|----|
| - | 国立成育医療研究センター概要 | | | 2 |
| - | 国立成育医療研究センター事業体系図 | | | 3 |
| - | 国立成育医療研究センター組織図 | | | 4 |
| 1-1 | 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 | 担当領域の特性を踏まえた戦略かつ重点的な研究・開発 の推進 | S | 5 |
| 1-2 | | 実用化を目指した研究・開発の推進及び基盤整備 | S | 13 |
| 1-3 | | 医療の提供に関する事項 | S | 19 |
| 1-4 | | 人材育成に関する事項 | A | 26 |
| 1-5 | | 医療政策の推進等に関する事項 | A | 30 |
| 2-1 | 業務運営の効率化に関する事項 | 業務運営の効率化に関する事項 | B | 35 |
| 3-1 | 財務内容の改善に関する事項 | 財務内容の改善に関する事項 | B | 37 |
| 4-1 | その他の事項 | その他業務運営に関する重要事項 | A | 39 |
| - | 平成30年度財務状況 | | | 41 |

国立成育医療研究センター概要

1. 設立

◇平成14年3月1日

国立成育医療センター開設

◇平成22年4月1日

高度専門医療に関する研究等を行う独立行政法人に関する法律（平成20年法律第93号）に基づき設立された非特定独立行政法人

◇平成27年4月1日

国立研究開発法人 国立成育医療研究センターへ移行

2. センターの行う業務

- ① 成育医療に関する調査、研究及び技術の開発
- ② 上記①の業務に密接に関連する医療の提供
- ③ 成育医療に関する、技術者の研修の実施
- ④ 上記①～③の業務に係る成果の普及及び政策の提言の実施
- ⑤ 上記①～④の業務に附随する業務の実施

3. 組織

◇ 研究所

- ・再生医療センター
- ・バイオバンク

◇ 臨床研究センター

◇ 病院

4. 役職員数

◇ 役員数（平成30年4月1日現在）

常勤3名 非常勤3名（うち監事2名）

◇ 職員数（平成31年1月1日現在）

常勤1,079名 非常勤457名

5. 病院の規模

◇ 病床数（一般）490床

◇ 患者数（平成30年度実績）

・入院患者数（1日平均） 386.1人

・外来患者数（1日平均） 1,010.7人

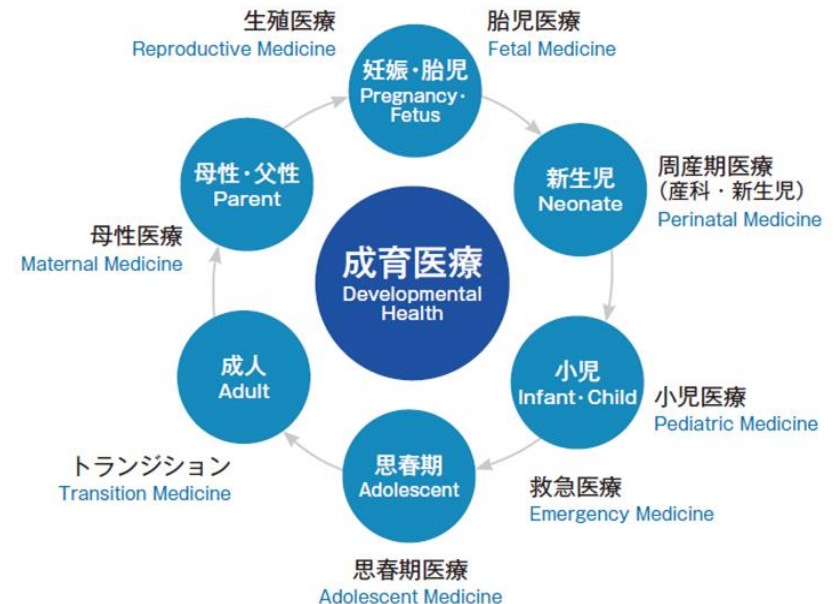
6. センターの理念

病院と研究所が一体となり、健全な次世代を育成するための医療と研究を推進します。

7. センターの基本方針

- ① 成育医療のモデル医療や高度先駆的医療をチーム医療により提供します。
- ② 成育医療の調査・研究を推進します。
- ③ 成育医療の専門家を育成し啓発普及のための教育研修を行います。
- ④ 成育医療の情報を集積し社会に向けて発信します。

小児・周産期医療を担う我が国最大の医療研究センター



研究・開発に関する事項

- 担当領域の特性を踏まえた戦略的かつ重点的な研究・開発の推進
- 実用化を目指した研究・開発の推進及び基盤整備

医療の提供に関する事項

- 医療政策の一環として、センターで実施すべき高度かつ専門的な医療、標準化に資する医療の提供
- 患者の視点に立った良質かつ安心な医療の提供

人材育成、医療政策の推進等に関する事項

- リーダーとして活躍できる人材の育成
- モデル的研修・講習等の実施
- 国への政策提言に関する事項
- 医療の均てん化並びに情報の収集及び発信に関する事項
- 公衆衛生上の重大な危害への対応

人材育成、医療政策の推進等に関する事項

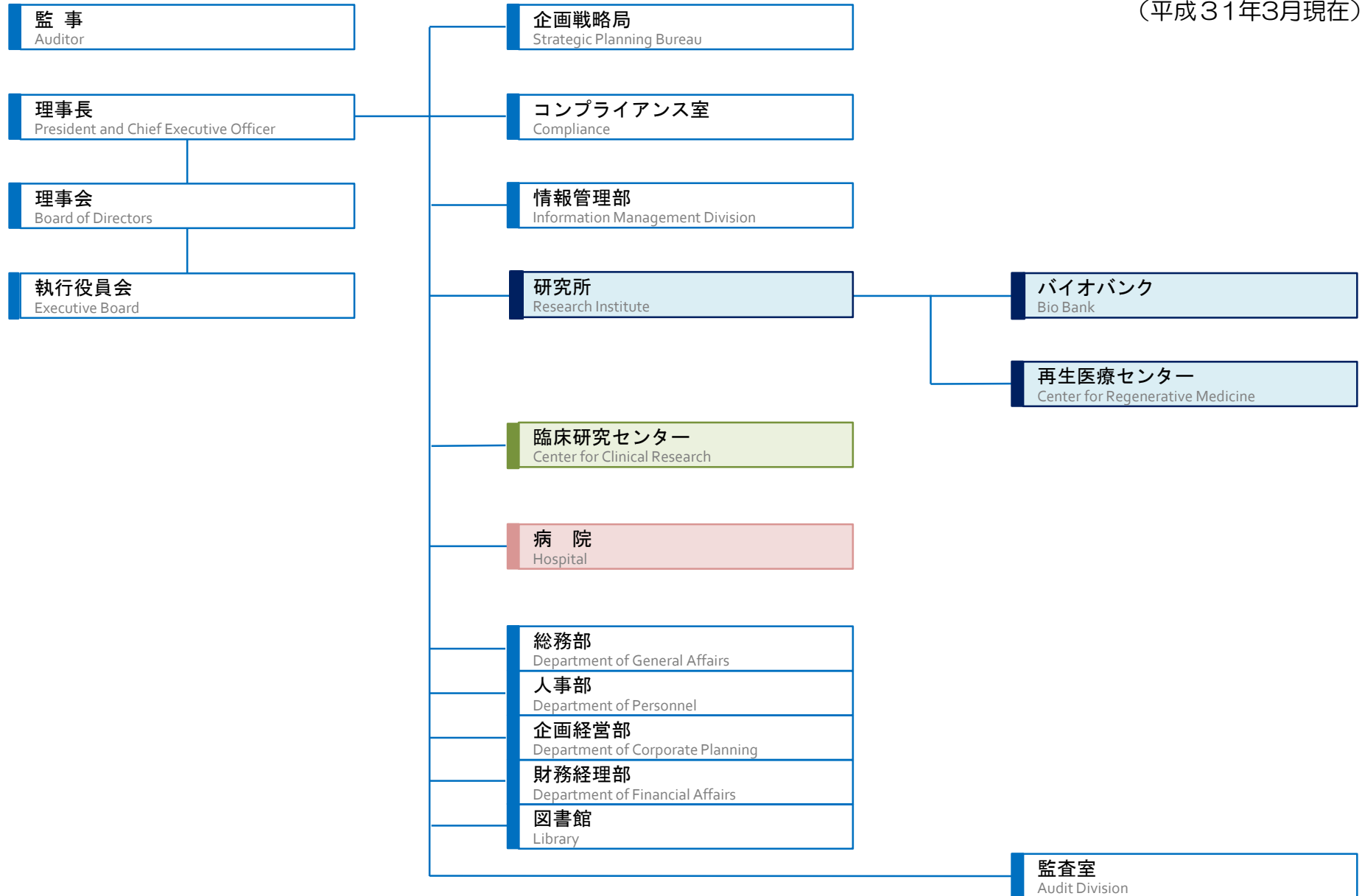
- 効率的な業務運営体制
- 収支改善、収入の確保、電子化の推進
- 予算、収支計画及び資金計画、短期借入金の限度額、剰余金の使途
- 法令遵守等内部統制の適切な構築
- その他厚生労働省令で定める業務運営に関する事項

高度先駆的医療の開発、普及
による公衆衛生の向上、増進

効率的な業務運営の実施による
安定的な経営基盤の確立

国立成育医療研究センター—組織図

(平成31年3月現在)



評価項目 N o. 1-1 担当領域の特性を踏まえた戦略かつ重点的な研究・開発の推進

自己評価 S

(過去の主務大臣評価 H27年度：A H28年度：S H29年度：S)

I 中長期目標等の内容

- ・ 成育医療分野において、大学や企業等と相互の強みを活かしながら有機的な連携を行い、独創的な研究を展開するほか、成育医療に資する研究目標を定め、研究を推進するとともに、医療に大きく貢献する研究成果を2件以上あげる。
- ・ 原著論文発表数を前年度と比して、1%以上増加させる。(394本×101%=397.9本)

【重要度「高」の理由】

担当領域の特性を踏まえた戦略かつ重点的な研究・開発の推進は、国民が健康な生活及び長寿を享受することのできる社会を形成するために極めて重要であり、研究と臨床を一体的に推進できるNCの特長を活かすことにより研究成果の実用化に大きく貢献することが求められているため。

【難易度「高」の理由】

免疫不全症や先天性代謝異常症等の多くは希少疾患・難治疾患であり、治療の対象となる患者数が極めて少ないことから全国的なネットワーク形成等により患者情報を集約した上、研究開発を多施設共同で取り組む必要がある。

また、倫理的な観点からも、これらの疾患に対する診断・治療等に関し我が国におけるコンセンサスを同時に形成していく必要があるという困難な面もあるため。

II 目標と実績との比較

以下のとおり、所期の目標を量的及び質的に上回る顕著な成果をあげている。

【定量的指標】

- ・ **医療に大きく貢献する研究成果** 目標値： 2 (件/年) 実績： 3 (件/年) (達成度 150.0%)

平成30年度の研究成果

- ①小児急性リンパ性白血病における抗がん剤によるオーダーメイド医療の手法を確立
重篤な副作用を生じる患者をあらかじめ予測することが可能となり、患者の体質に応じた適切な抗がん剤投与量を推測することができる。
- ②妊娠マウスへの特殊な抗体を投与する研究による根本的なアレルギー疾患の予防法を解明
妊娠中マウスに抗IgE抗体を投与することで、仔のIgE抗体の生産が長期間抑制されることが明らかとなった。研究成果は、乳幼児期におけるアレルギー疾患の根本的な予防法となり得る可能性がある。
- ③エコチル調査パイロット調査に参加している子どもが家庭で使用する寝具から鶏卵アレルギーを100%検出
子どもの家庭環境における寝具類の鶏卵アレルギーの測定を日本で初めて実施した。研究成果をもとに家庭内での鶏卵アレルギー拡散の機序解明につなげる。

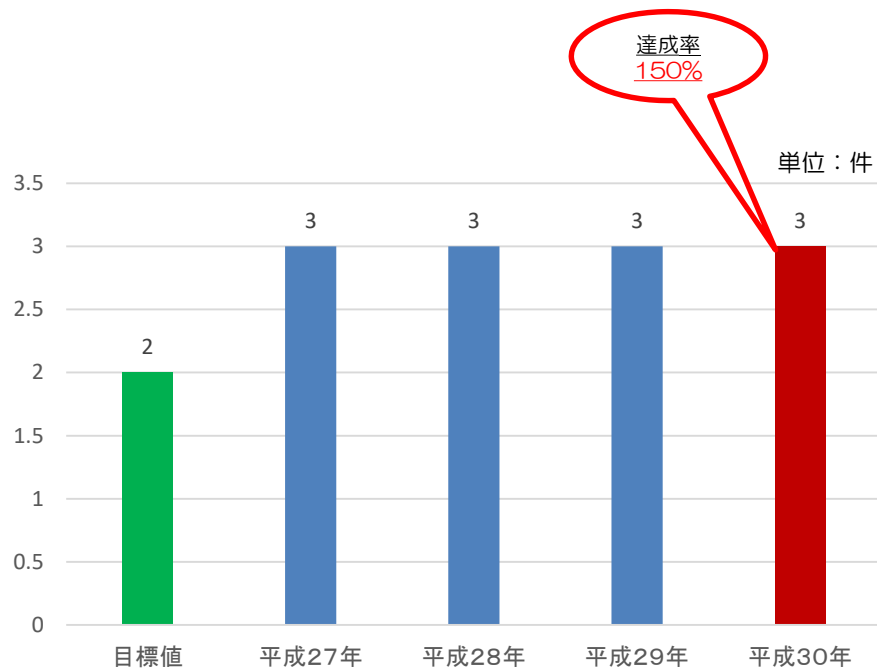
- ・ **原著論文発表集** 目標値： 397.9 (本/年) 実績： 400 (本/年) (達成度 100.5%)

【定性的指標】

- ・ 希少・未診断疾患イニチアチブにおいて、原因不明の神経難病の原因を解明
- ・ 成育疾患の分子基盤解明：新規インプリンティング疾患の発見、疾患原因遺伝子の解明、バイオマーカーの開発
- ・ CPT2欠損症の新生児マススクリーニング：正規対象疾患として全国での実施がスタート

<定量的指標>

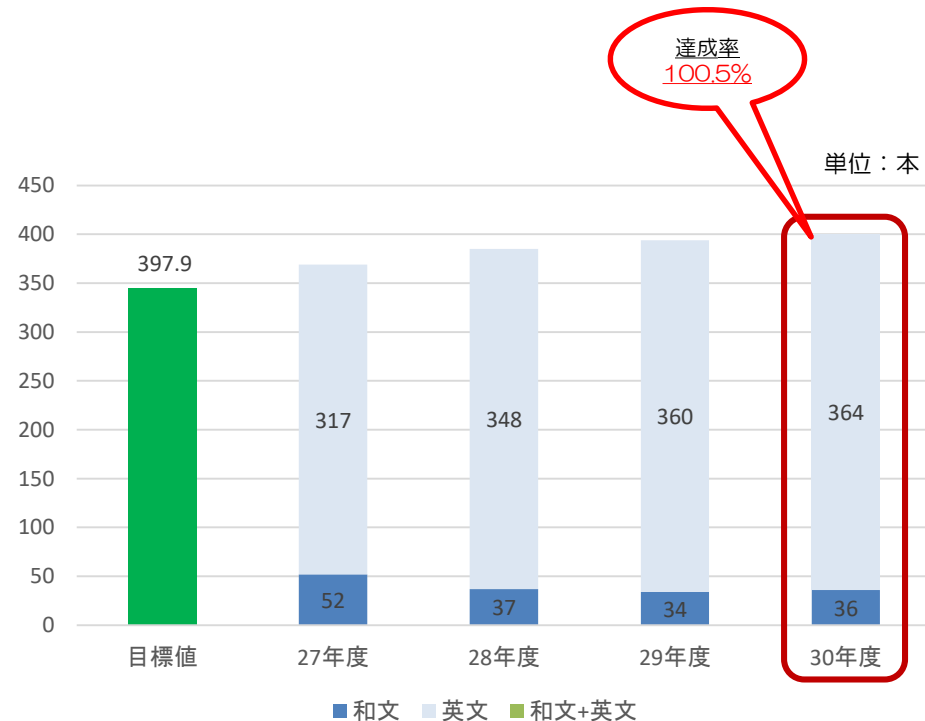
(1) 医療に大きく貢献する研究成果



(目標値)

- 30年度計画：2（件／年）
- 30年度実績：3（件／年）
- 達成率：150%

(2) 原著論文発表数



(目標値)

- 30年度計画：397.9（本／年）
- 30年度実績：400（本／年）
- 達成率：100.5%

① 小児急性リンパ性白血病における抗がん剤によるオーダーメイド医療の手法を確立 (評価書10頁)

注目

重篤な副作用を生じる患者をあらかじめ予測することが可能となり、患者の体質に応じた適切な抗がん剤投与量を推測することができる。

2016年度

2017年度

2018年度

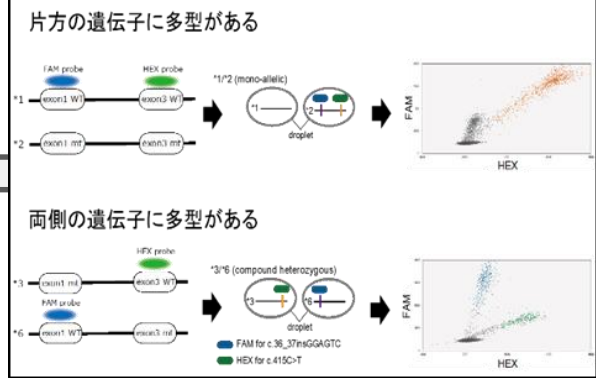
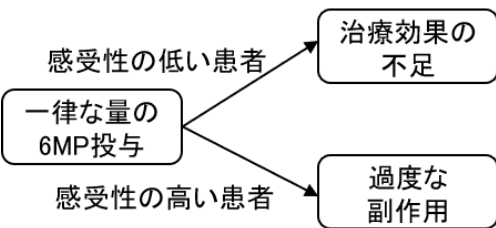
2019年度以降

- 小児急性リンパ性白血病 (ALL) における維持療法の意義を検証した (Leukemia 2017)。
- 国際共同研究を通じて、小児ALLの維持療法などで用いる治療薬「6-メルカプトプリン (6MP) まで」の感受性にNUDT15遺伝子多型が関与していることを特定した (Nat Genet 2016)。

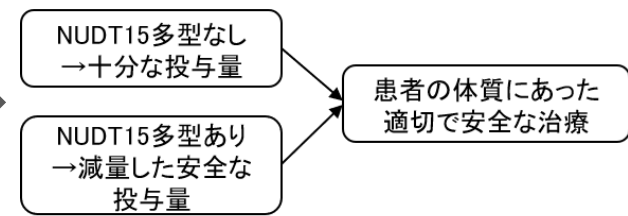
- NUDT15遺伝子の複数の多型が6MPによる副作用の起こりやすさに関連することを検証し、多型の正確な解析法を確立した (Leukemia 2018)。
- NUDT15遺伝子多型を指標とした6MPの適切な投与量の推定について、国際的なガイドラインにも掲載された (Clin Pharmacol Ther 2018)。
- 国内でもNUDT15遺伝子多型を検査することの意義が認識され、2019年2月から保険適用となった。

- NUDT15遺伝子の多型に応じた6MPの最適な投与量を設定した前方視的臨床試験を開始する。

従来：経験的な投与量調整



遺伝的多型に基づいた投与量調整



NUDT15遺伝子多型の詳細かつ正確な解析

※多型 (たけい) : 遺伝子配列の個人差であり、遺伝的な体質の違いをもたらすことがある。

CPIC UPDATE
Clinical Pharmacogenetics Implementation Consortium Guideline for Thiopurine Dosing Based on TPMT and NUDT15 Genotypes: 2018 Update
Mary V. Relling¹, Matthias Schwab^{2,3,4}, Michelle Whirl-Carrillo⁵, Guilherme Suarez-Kurtz⁶, Ching-I Hon⁷, Charles M. Stein⁸, Ann M. Moyer⁹, William E. Evans¹, Teri E. Klein¹⁰, Federico Guillermo Ancillon-Klassmann^{10,11}, Kelly E. Caudle¹, Motohiro Kato¹², Allen E.J. Yeoh^{13,14}, Kjeld Schmiegelow^{15,16} and Jun J. Yang¹⁷

日本でも検査が保険適用 (2019年2月～) → 診療における標準的検査へ

国際的なガイドライン整備

② 妊娠マウスへの特殊な抗体を投与する研究による
 根本的なアレルギー疾患の予防法を解明 (評価書10頁)



妊娠中マウスに抗IgE抗体を投与することで、仔のIgE抗体の生産が長期間抑制されることが明らかとなった。研究成果は、乳幼児期におけるアレルギー疾患の根本的な発症予防法となり得る可能性がある。

2016年度

・ 仔マウスにおけるアレルギー疾患発症を評価する実験系の確立。

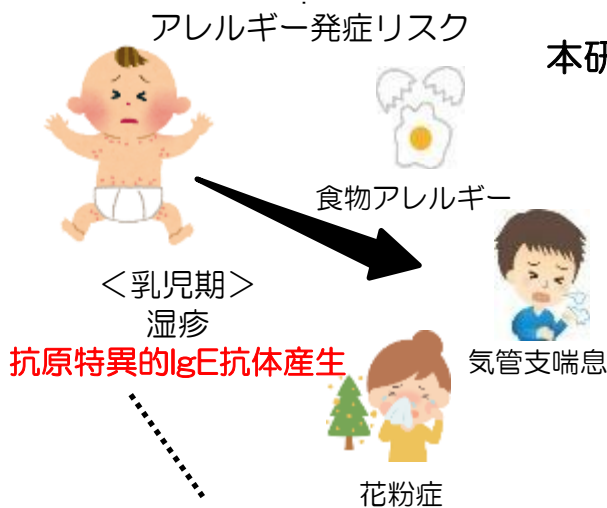
2017年度

2018年度

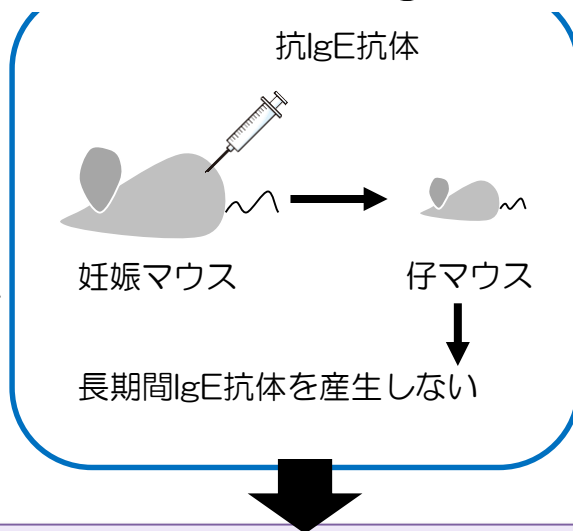
・ 抗IgE抗体のアレルギー疾患発症予防に対する効果を、マウスモデルを用いて検討。
 ・ その結果、妊娠中マウスに抗IgE抗体を投与することで、仔のIgE抗体の産生が長期間抑制されることが明らかとなった。

2019年度以降

・ 抗IgE抗体を用いた臨床研究の実施を検討。



本研究で明らかになった抗IgE抗体の効果



アレルギー疾患の根本的な発症予防法となり得る



欧州アレルギー臨床免疫学会
 Phadia Allergy Research Forum
 (PhARF) Award受賞

平成30年11月27日朝日新聞(朝刊一面)

③ エコチル調査パイロット調査に参加している子どもが家庭で使用する寝具から鶏卵アレルギーを100%検出（評価書11頁）

子どもの家庭環境における寝具類の鶏卵アレルギーの測定を日本で初めて実施した。研究成果をもとに、家庭内での鶏卵アレルギー拡散の機序解明等につなげる。

注目

2016年度

2017年度

2018年度

2019年度以降

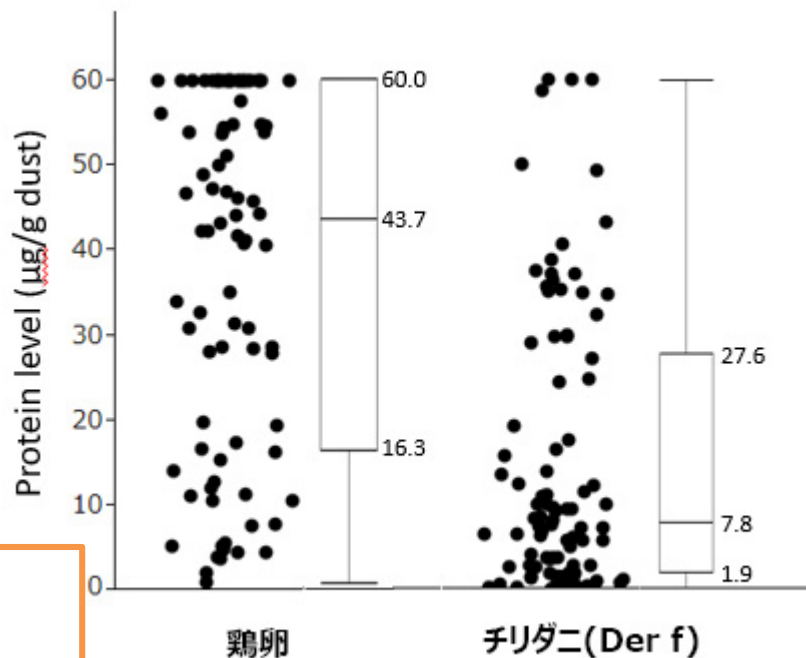
・環境省事業で実施した「子どもの健康と環境に関する全国調査（エコチル調査）」のパイロット調査で実施した。

・3歳の子どもの家庭訪問により約90件の家庭を対象とした。

・子どもが使用している寝具に掃除機をかけて埃を収集・埃中の鶏卵アレルギー量とチリダニアレルギー量を測定し比較した。

・鶏卵アレルギーがすべての子どもの寝具に認められた。
 ・鶏卵アレルギーはダニアレルギーよりも高濃度であった。

・環境中の鶏卵曝露の影響が鶏卵アレルギー発症に關与するか機序の解明に期待。



・湿疹によりバリア機能が低下した皮膚から環境中の鶏卵アレルギーが侵入。

↓
 ・経皮感作（IgE抗体を作る）を引き起こし、鶏卵アレルギーの発症をしているのでは？

・経皮感作は食物アレルギーの発症原因として重要視されてる。

発表論文情報

著者：北沢博、山本貴和子、齋藤麻耶子、松本健治、齋藤博久、大矢幸弘、他

題名：Egg antigen was more abundant than mite antigen in children's bedding: findings of the pilot study of The Japan Environment and Children's Study (JECS)

掲載誌：Allergy International

○ 希少・未診断疾患イニシアチブにおいて、原因不明の神経難病の原因を解明 (評価書9頁)

神経機能と構造が異常になる神経難病の新規原因の発見は、正確な診断が可能になるとともに、神経機能の回復を目指した治療開発研究の推進に役立つ。

2016年度

2017年度

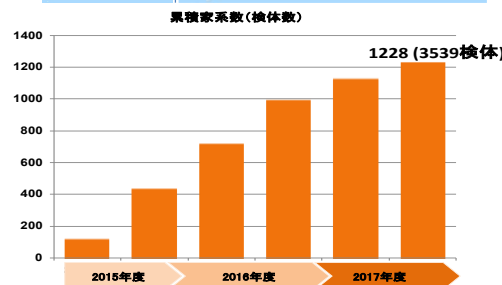
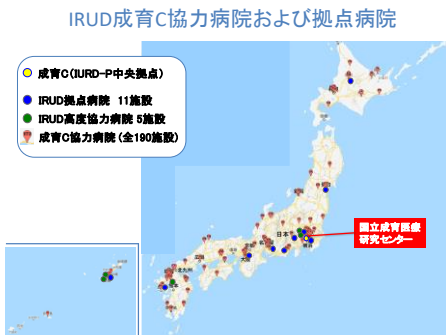
2018年度

2019年度以降

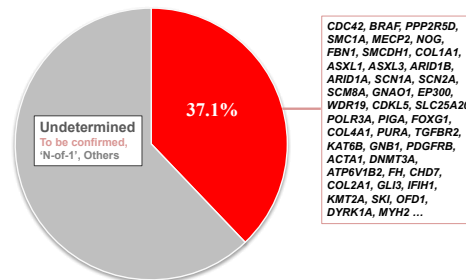
- ・診断のつかない難病に対する研究プロジェクト、小児希少・未診断疾患イニシアチブ (IRUD-P) の中心的施設として研究実施。
- ・全国各地の拠点病院、協力病院より患者および家族の臨床情報、検体 (3,539 検体) を収集。
- ・解析の結果34.3%で診断に到達、まだ、新規原因遺伝子を発見。

- ・全く診断のつかない症例 (948症例) の全遺伝子シーケンスを中心とした解析により37.1%の診断到達。
- ・原因不明の神経難病 (痙性両麻痺、大脳構造異常を呈する) の新規原因遺伝子JIP3 (MAPK8IP3) を発見。
 [Annals of Neurology (IF=10.25) にてon line発表]。

- ・診断困難・原因不明患者の解析と診断。
- ・新規疾患原因遺伝子の探索、発見。
- ・ゲノム診断法の普及。
- ・難病治療開発研究。

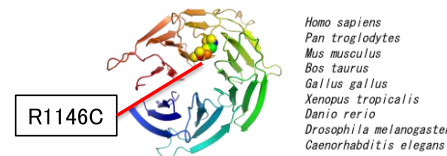
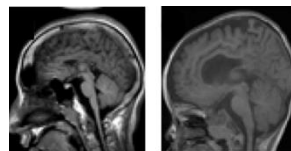


原因到達率

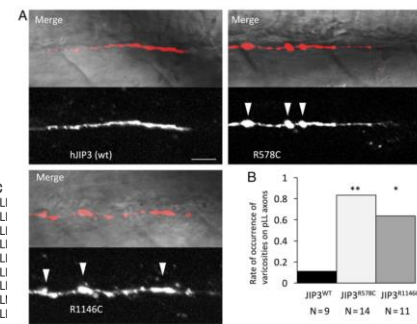


CDC42, BRAF, PPP2R5D, SMC1A, MECP2, NOG, FBN1, SMCDH1, COL1A1, ASXL1, ASXL3, ARID1B, ARID1A, SCN1A, SCN2A, SCN8A, GNAO1, EP300, WDR19, CDKL5, SLC25A20, POLR3A, PIGA, FOXG1, COL4A1, PURA, TGFBR2, KAT5B, GNB1, PDGFRB, ACTA1, DNMT3A, ATP6V1B2, FH, CHD7, COL2A1, GLI3, IFIH1, KMT2A, SKI, OFD1, DYRK1A, MYH2 ...

原因不明の神経難病



治療のターゲット



○ 成育疾患の分子基盤解明：新規インプリンティング疾患の発見、疾患原因遺伝子の解明、バイオマーカーの開発（評価書14頁）

これまで原因不明であった成育疾患患者の診断が可能となり、発症機序に基づいた治療法が開発される。

2016年度

2017年度

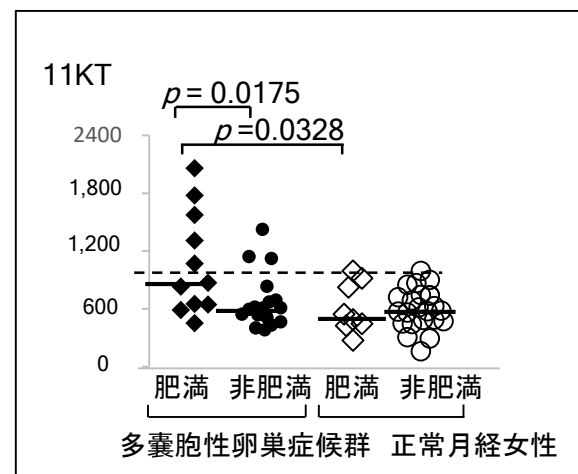
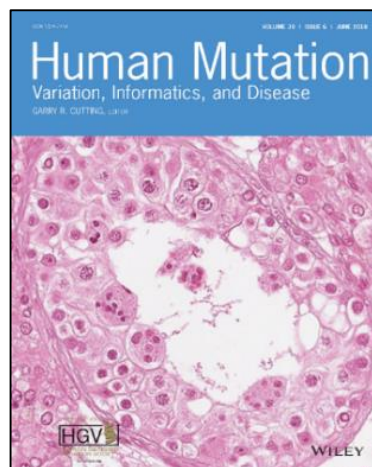
2018年度

2019年度以降

- 国内外の医療機関と連携し、10,000以上の成育疾患検体を集積。
- 次世代シーケンス、パイロシーケンスなど最新技術を用いたゲノム・エピゲノム解析システムを開発。
- バイオインフォマティクス解析、細胞とモデル動物を用いた遺伝子機能評価システムを確立。

- 2つの新たなインプリンティング疾患を発見。
- 生殖機能障害の新たな原因遺伝子を発見。
- 多嚢胞性卵巣症候群の診断バイオマーカーとなるステロイドを同定。

- 先天性疾患クリニカルシーケンス実装化。
- 分子基盤に基づいた新規治療法の開発。
- 国際共同研究の推進。



新たなインプリンティング疾患（20番染色体母性片親性ダイソミー症候群）を発見

STX2遺伝子異常が精子成熟停止を招くことを発見

11ケトテストステロン測定が多嚢胞性卵巣症候群患者の診断に役立つことを証明

○ CPT2欠損症の新生児マススクリーニング：正規対象疾患として全国での実施がスタート（評価書23頁）

乳幼児突然死の原因となる脂肪酸代謝異常症の中でも、日本では、特に急死リスクの高い遺伝子型による患者の比率が高く、スクリーニングによる大きな予防効果が期待される。

2016年度

2017年度

2018年度

2019年度以降

・脂肪酸代謝異常症「カルニチンパルパルミトイルトランスフェラーゼ2 (CPT2) 欠損症」の表現型は、

欧米：大半が骨格筋症状のみ。
 日本：低血糖を伴う急性発症による乳幼児の急死例が多発（表）。

・2014年度～「タンデムマス法」による新生児マススクリーニング開始：CPT2欠損症は指標の感度不足から対象外。

・新指標 (C16 + C18:1)/C2 AND 14/C3 (カットオフ99.9パーセントイル) の有用性を報告 (Mol Genet Metab 2016)。

- ・CPT2欠損症マススクリーニングが全自治体で開始された。
- ・我々が診断した発見患者数：平成30年度は6例に増加（図）。
- ・遺伝子型：試験研究期発見例を合わせた13例中11例に、複数の日本人急死例で既報の変異 (p.E174K, p.F383Y) を同定。
- ・これらの知見を改訂中の診療ガイドラインに反映させた。
- ・担当医に急死リスクを喚起するリーフレットを作成配布した。
- ・これまでの知見をまとめた総説を公表した。(J Hum Genet 2019, 日小児会誌 2019)

・発見患者の家族に急性発症リスクを喚起するリーフレットを作成・配布する。

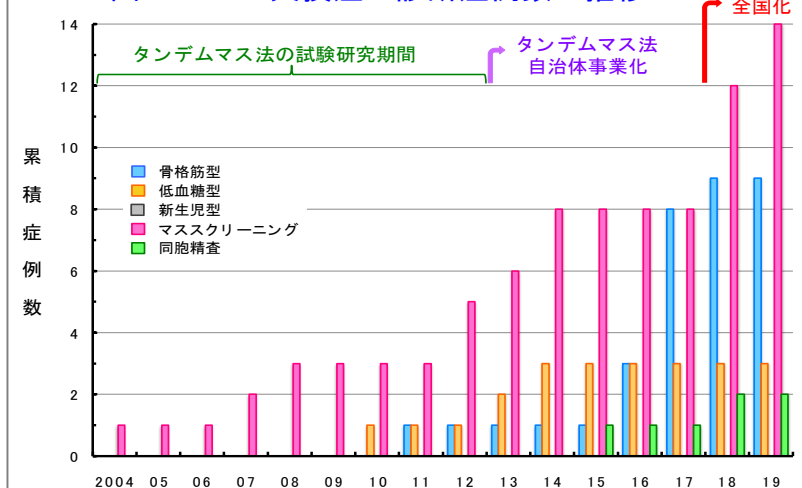
・2018年度に全国で発見されたCPT2欠損症患者数を明らかにする。

・計画中の「難病プラットフォーム」患者登録システムを利用して、発見患者を追跡する仕組みを構築する。

表：先天代謝異常症が判明した乳幼児急死例

| 症例 | 新生児マススクリーニング | 発症年齢 | 発症形態・前駆症状 | 転帰 | 診断 | 備考 |
|----|--------------|------|-----------|----------|-------|--------------|
| 1 | 三頭酵素欠損症疑い | 8m | インフルエンザ | 急死(当日) | CPT2 | 再採血で正常化→精査せず |
| 2 | CPT2欠損症疑い | 8m | 発熱 | 急死(経過不詳) | CPT2 | 対象疾患外→精査せず |
| 3 | タンデムマス未開始 | 3d | チアノーゼ 低体温 | 急死(翌日) | CPT2 | |
| 4 | タンデムマス未開始 | 1m | なし | 睡眠中に死亡 | VLCAD | |
| 5 | タンデムマス未開始 | 4m | 感冒症状 | 急死(数日後) | CPT2 | |
| 6 | タンデムマス未開始 | 6m | 感冒症状 | 急死(数日後) | CPT2 | |
| 7 | タンデムマス未開始 | 8m | 不詳 | 急死(経過不詳) | MCAD | |
| 8 | タンデムマス未開始 | 9m | 発熱 下痢 | 急死(翌日) | CPT2 | |
| 9 | タンデムマス未開始 | 9m | 不詳 | 急死(経過不詳) | GA2 | |
| 10 | タンデムマス未開始 | 11m | 感冒症状 | 急死(当日) | CPT2 | |
| 11 | タンデムマス未開始 | 1y1m | 発熱 | 急死(経過不詳) | CPT2 | |
| 12 | タンデムマス未開始 | 1y1m | 低血糖 けいれん | 急死(6日後) | CPT2 | |
| 13 | タンデムマス未開始 | 1y5m | 意識障害 けいれん | 急死(経過不詳) | VLCAD | |
| 14 | タンデムマス未開始 | 1y8m | 不詳 | 急死(経過不詳) | MCAD | |
| 15 | タンデムマス未開始 | 不詳 | Reye 様症状 | 急死(経過不詳) | CPT2 | |
| 16 | タンデムマス未開始 | 不詳 | インフルエンザ | 急死(数日後) | CPT2 | |
| 17 | タンデムマス未開始 | 不詳 | 不詳 | 急死(経過不詳) | CPT2 | |
| 18 | タンデムマス未開始 | 不詳 | 不詳 | 急死(経過不詳) | CPT2 | 双胎例 |

図：CPT2 欠損症：診断症例数の推移



評価項目 N o. 1-2 実用化を目指した研究・開発の推進及び基盤整備

自己評価 S

(過去の主務大臣評価 H27年度：B H28年度：A H29年度：A)

I 中長期目標等の内容

- ・ 企業や大学等との連携を強化し、共同研究や受託研究を推進する。これにより共同・受託研究を、前年度に比べ1%以上増加させる。(146件×101%=147.5件)
- ・ 職務発明委員会における審査件数を、前年度に比べ2%以上増加させる。(14件×102%=14.3件)
- ・ First in Human／First in Child(ヒト(子ども)に初めて投与する)試験実施数を1件、医師主導治験実施件数を3件開始する。
- ・ 先進医療承認件数を3件以上とする。(3件/6年=0.5件)(中長期計画)
- ・ 臨床研究実施件数(倫理委員会にて承認された研究)を前年度に比し、1%増加させる。(255件×101%=257.6件)
- ・ 治験(製造販売後臨床試験も含む。)の実施件数を、前年度に比し、1%増加させる。(52件×101%=52.5件)
- ・ 学会等が作成する診療ガイドラインへの採用件数を10件とする。

【重要度「高」の理由】

実用化を目指した研究・開発の推進及び基盤整備は、国民が健康な生活及び長寿を享受することのできる社会を形成することのできる社会を形成するために極めて重要であり、研究と臨床を一体的に推進できるNCの特長を活かすことにより、研究成果の実用化に大きく貢献することが求められているため。

II 目標と実績との比較

以下のとおり、所期の目標を量的及び質的に上回る顕著な成果をあげている。

【定量的指標】

| | | | |
|-----------------------|------------------|----------------|--------------|
| ・ 共同研究の実施件数 | 目標値： 147.5 (件/年) | 実績値： 155 (件/年) | (達成度 105.1%) |
| ・ 職務発明審査件数 | 目標値： 14.3 (件/年) | 実績値： 9 (件/年) | (達成度 62.9%) |
| ・ First in Human試験実施数 | 目標値： 1 (件/年) | 実績値： 1 (件/年) | (達成度 100.0%) |
| ・ 医師主導治験実施件数 | 目標値： 3 (件/年) | 実績値： 4 (件/年) | (達成度 133.3%) |
| ・ 先進医療承認件数(中長期計画) | 目標値： 0.5 (件/年) | 実績値： 0 (件/年) | (達成度 0.0%) |
| ・ 臨床研究実施件数 | 目標値： 257.6 (件/年) | 実績値： 314 (件/年) | (達成度 121.9%) |
| ・ 治験実施件数 | 目標値： 52.5 (件/年) | 実績値： 55 (件/年) | (達成度 104.8%) |
| ・ 学会ガイドライン採用件数 | 目標値： 10 (件/年) | 実績値： 28 (件/年) | (達成度 280.0%) |

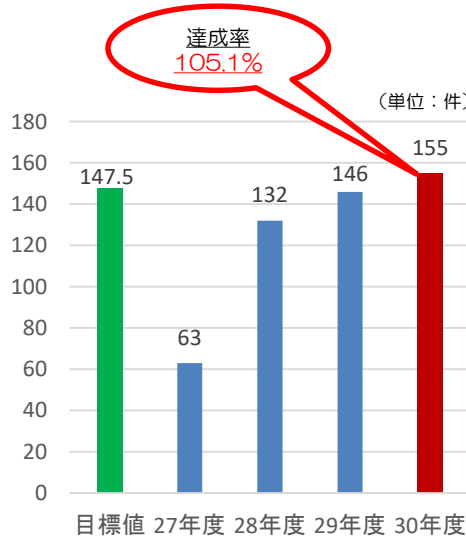
【定性的指標】

- ・ 無心体双胎に対するラジオ波焼灼術の適応拡大・保険収載
- ・ 小児難病に対する胎内治療の治験開始
- ・ 小児治験ネットワーク

<定量的指標>

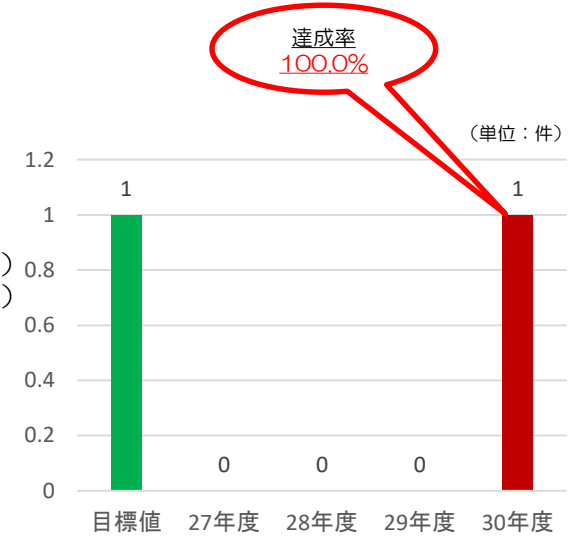
(1) 共同・受託研究数

- (目標値)
 ●30年度計画：147.5 (件/年)
 ●30年度実績：155 (件/年)
 ●達成率：105.1%



(3) First in Human / First in Child 試験実施数

- (目標値)
 ●30年度計画：1 (件/年)
 ●30年度実績：1 (件/年)
 ●達成率：100.0%



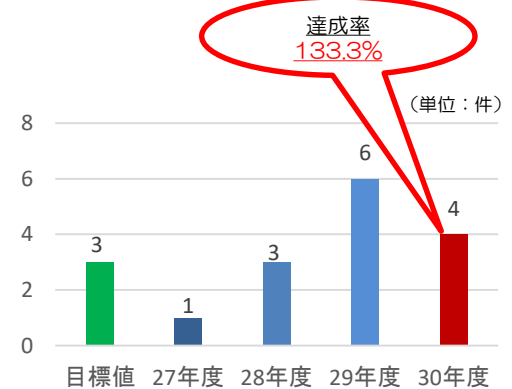
(2) 職務発明委員会審査件数

- (目標値)
 ●30年度計画：14.3 (件/年)
 ●30年度実績：9 (件/年)
 ●達成率：62.9%



(4) 医師主導治験実施数

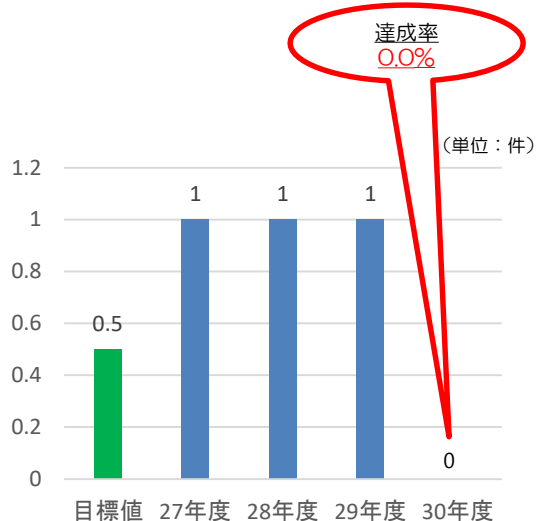
- (目標値)
 ●30年度計画：3 (件/年)
 ●30年度実績：4 (件/年)
 ●達成率：133.3%



・平成30年度は、医師主導治験4件（HAES移植治療、胎内ガンマグロブリン療法、ヘリウム・酸素混合ガス、ピリドキサミン）を新規に開始した。

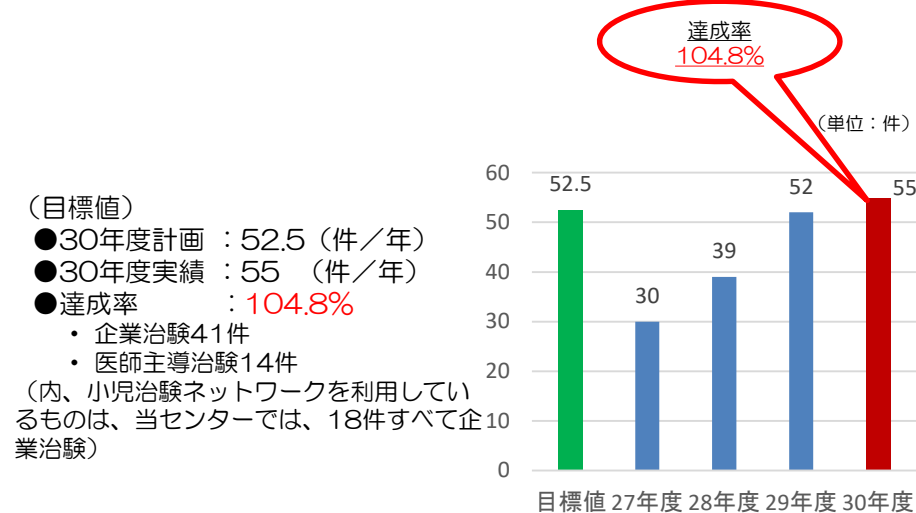
<定量的指標>

(5) 先進医療承認件数



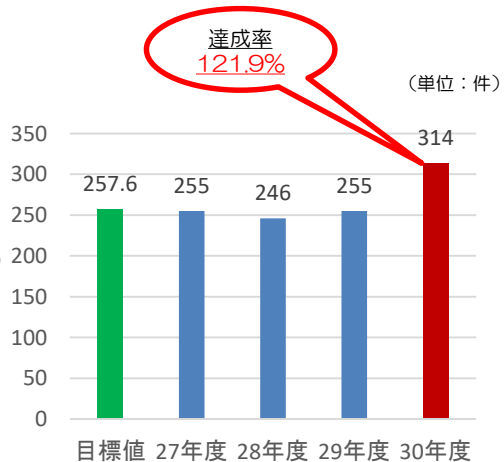
- (目標値)
- 中長期計画 : 0.5 (件/年)
 - 30年度実績 : 0 (件/年)
 - 達成率 : 0.0%

(7) 治験 (含製造販売後臨床試験) 実施件数



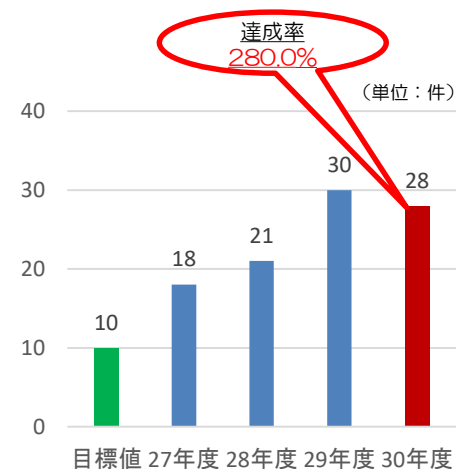
- (目標値)
- 30年度計画 : 52.5 (件/年)
 - 30年度実績 : 55 (件/年)
 - 達成率 : 104.8%
- ・企業治験41件
 - ・医師主導治験14件
- (内、小児治験ネットワークを利用しているものは、当センターでは、18件すべて企業治験)

(6) 臨床研究実施件数 (倫理委員会にて承認された研究)



- (目標値)
- 30年度計画 : 257.6 (件/年)
 - 30年度実績 : 314 (件/年)
 - 達成率 : 121.9%

(8) 診療ガイドライン採用件数



- (目標値)
- 30年度計画 : 10 (件/年)
 - 30年度実績 : 28 (件/年)
 - 達成率 : 280.0%
- (学会が作成する診療GIへの参画数)

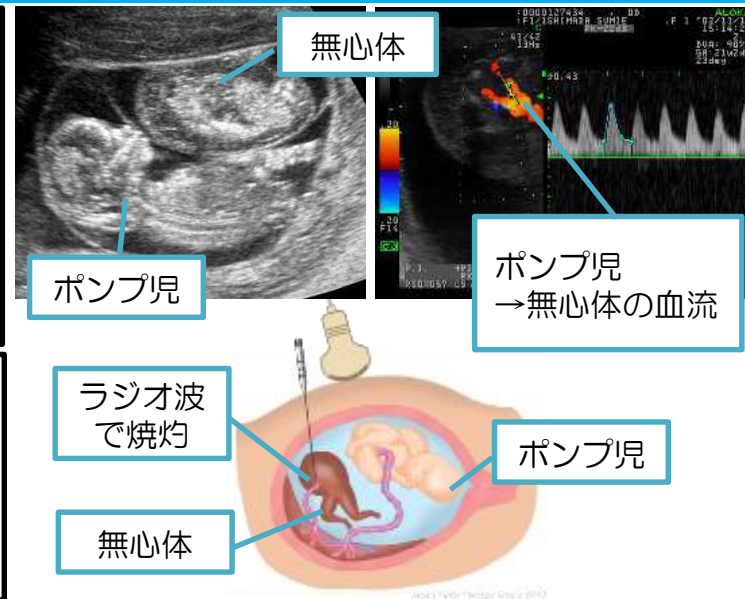
① 無心体双胎に対するラジオ波焼灼術の適応拡大・保険収載（評価書34頁）

無心体双胎・TRAP sequence (Twin reversed arterial perfusion sequence)

- 健常な児と人体としての臓器構造を有さない無心体との双胎
- 極めて稀な疾患（日本で年間30症例程度）
- 本来健常な児（ポンプ児）⇒ 無心体への血流が生じると、ポンプ児が心不全に
- 無治療の場合のポンプ児の生存率：約4割
- 日本に保険収載された治療法はなかった

ラジオ波焼灼術

- 元来肝がんの治療法
- 無心体を穿刺してラジオ波で凝固させ、無心体へ流入する血流を遮断
- 日本での治療成績をまとめた生存率：約9割



適応拡大・保険収載に向け、治験実施が望ましいものの・・・

- 患者数が少ない
- 企業の協力が得られない等の障壁

専門の医師
+
薬事専門家

規制
当局

規制科学的判断

- 日本での治療成績をまとめた学術論文を出版
- 国内外の文献の系統的レビューを実施
- 臨床評価報告書の基礎となる資料を作成
- 適性使用指針案を作成

企業

左記、資料に基づき適応拡大の申請

治験を行うことなく、実績データに基づき、
 平成30年7月：薬機法承認
 平成31年3月：保険収載

治験の実施が難しい希少疾患で、治験なしで薬機法承認

- ← 臨床現場の医師の使用法の統一化、使用実績の蓄積、診療データ・研究データの信頼性確保、論文発表
- ← 開発薬事専門家等による支援
- ← 規制当局担当者の規制科学的判断

② 小児難病に対する胎内治療の治験開始 (評価書40頁)

有効性を検証した世界初の臨床試験

新生児ヘモクロマトーシスに対する胎内ガンマグロブリン大量静注療法の医師主導治験

2017年度

2018年度

2019年度以降

・PMDAとの薬事戦略相談を活用し、治験実施計画書を策定した。

・2018年6月から医師主導治験を開始した（成育、金沢大、自治医大）。

・2021年度末まで、医師主導治験を実施後、製薬会社による薬事承認申請。

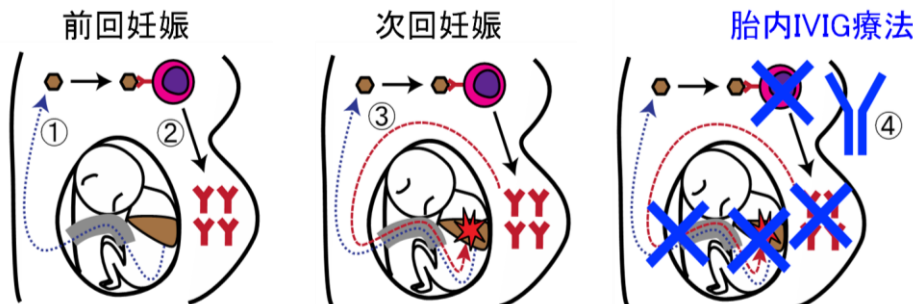
対象：「新生児ヘモクロマトーシス」と診断された児を分娩したことがある妊婦。

- 問題点：
- ・次子妊娠での再発率は、80~90%と高い。
 - ・胎内あるいは生直後より重症の肝障害・肝不全を発症し、死亡割合が高い重篤な疾患。
 - ・生後早期に交換輸血、血漿交換、肝臓移植など、ハイリスクな新生児治療が必要となる。

病態と胎内ガンマグロブリン大量静注療法

同種免疫性胎児肝障害

胎児抗原・母体抗体とも未特定

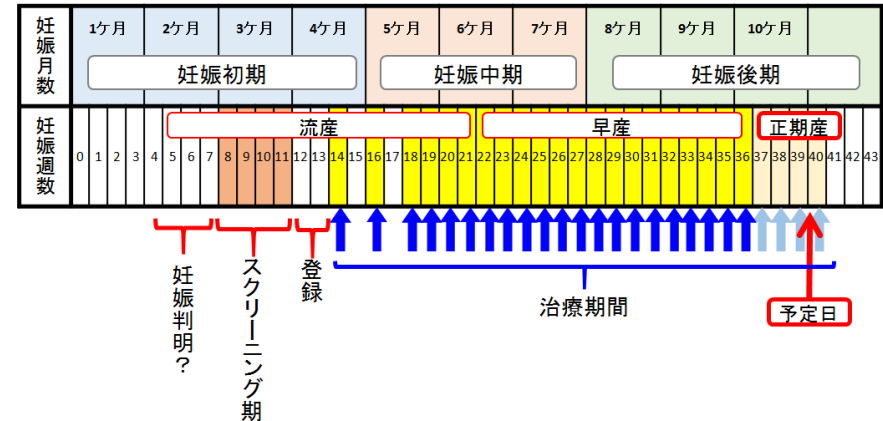


①胎児肝細胞(抗原)が母体に移行
 ②母体が胎児肝細胞に対するIgG抗体産生

③母体抗体が胎児肝細胞を攻撃
 胎内で肝障害・肝不全に
 胎内死亡することも

④胎内IVIG療法による、
 経胎盤胎児IgG移行抑制
 B細胞系による抗体産生抑制
 病因抗体の抗原結合阻止
 補体による肝障害の抑制

治療スケジュール



- ・子宮内胎児死亡の回避
- ・新生児に対する集中治療の回避
- ・重症肝不全の防止→生体/脳死肝移植の回避
- ・医療費の削減

③ 小児治験ネットワーク (評価書35、42、43頁)

・小児領域での治験等を推進（治験効率化、中央治験審査委員会の整備、症例集積性の向上、人材育成など）させるため小児医療施設、大学病院及び国立病院機構病院等と連携（ネットワーク化）し、小児に使用できる医薬品・医療機器の拡大・充実を図り、早期開発の受け皿として機能していくことを目的とする。（平成22年設置）

One Stop Serviceの実現

平成
22年
設立

加盟
医療機関
43 施設

ネットワーク
小児病床数
6,300 床

| | | | |
|--------|------|----------|-----|
| 大学附属病院 | 12施設 | 総合病院 | 6施設 |
| 小児病院 | 17施設 | 国立病院機構病院 | 6施設 |

治験の効率化

治験手続きの統一化

- 標準業務手順書
- 同意・説明文書（アセント文書）
- 費用算定、契約（書式）

治験のICT化

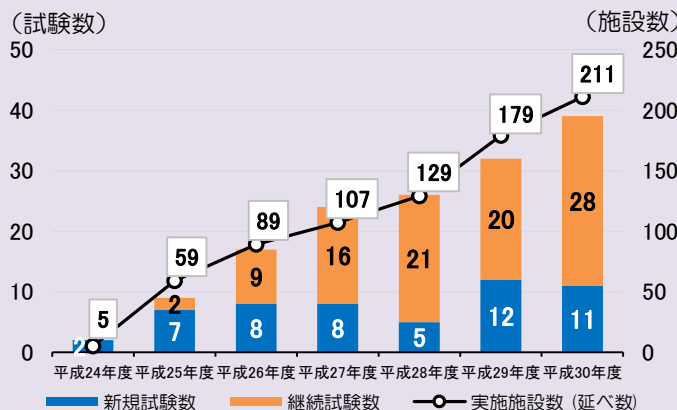
- web会議システム
- 文書管理・進捗管理システム
- 施設間情報共有

中央治験審査委員会の設置(12回開催)

- 治験の一括審査
- 治験（委員会）資料の電子化

治験実施環境の整備による開発コストの削減
 ⇒開発が容易となる環境の提供
 ⇒小児医薬品・医療機器の早期開発

小児治験ネットワークを介した 企業治験実施状況



* 承認申請状況

- 企業主導治験：53件（平成24年度～）
- 企業主導治験：11件（平成30年度）

人材育成（CRC養成）

□小児CRC部会の設立（会員数：約130名）

（小児CRC養成研修会開催）

□日本臨床薬理学会認定研修会として開催

- ※平成30年度受講者数
- ・座学研修：49名受講
- ・実地研修：5名受講



研究・開発の促進

○産官学連携による開発推進
 「小児領域における新薬開発推進のための医薬品選定等に関する研究」（臨床研究・治験推進研究事業：前年度開始）

- ・学会（日本小児科学会（分科会も含む））と連携した小児医薬品開発の推進
- ※成育内に事務局設置

○医療情報を活用した開発・安全対策の推進

小児医療施設等からの医療情報を収集し、利活用を可能とする「小児医療情報収集システム」の整備
 ※疾患レジストリーの構築
 ※使用実態の把握（添付文書改訂のエビデンス）

【本年度末実績】

- ・小児医療施設11施設
- ・クリニック35施設
- ・電子カルテデータ約25万人分
- ・問診データ約3万人分データ



小児治験ネットワークの
 人的・機能的インフラも活用

評価項目 No. 1-3 医療の提供に関する事項

自己評価 S

(過去の主務大臣評価 H27年度：B H28年度：A H29年度：A)

I 中長期目標等の内容

- ・ センターで実施されている臨床研究等について、その研究成果を活用し、先進医療を含む高度かつ専門的な医療の提供を図る。
- ・ 先天性免疫不全症に対する遺伝子治療を1件以上実施する。
- ・ 遺伝カウンセリング体制を確立し、臨床研究で行っている母体血による無侵襲的出生前遺伝学的検査を1,000件以上実施する。
- ・ 小児臓器移植医療の一層の拡充を目指し、肝臓移植を50件以上実施する。
- ・ 医療安全および感染対策に関して、年3回以上の全職員を対象とする研修を実施する。

【重要度「高」の理由】

成育医療、長寿医療に対する中核的な医療機関であり、研究開発成果の活用を前提として、医療の高度化・複雑化に対応した医療を実施することは、我が国の医療レベルの向上に繋がるため。

II 目標と実績との比較

以下のとおり、所期の目標を量的及び質的に上回る顕著な成果をあげている。

【定量的指標】

| | | | |
|---------------------|------------------|------------------|--------------|
| ・ 先天性免疫不全症に対する遺伝子治療 | 目標値： 1 (件/年) | 実績値： 1 (件/年) | (達成度 100.0%) |
| ・ 出生前遺伝学的検査 | 目標値： 1,000 (件/年) | 実績値： 1,267 (件/年) | (達成度 126.7%) |
| ・ 肝臓移植 | 目標値： 50 (件/年) | 実績値： 51 (件/年) | (達成度 102.0%) |
| ・ 医療安全および感染対策研修会 | 目標値： 3 (件/年) | 実績値： 10 (件/年) | (達成度 333.3%) |

【定性的指標】

- ・ 発達障害（特にディスレクシア）に関する診療技術の指導や、交換研修を企画し、医療の均てん化に貢献
- ・ 赤ちゃんの頭のかたち外来
- ・ トランジション外来（小児期・思春期から成人期への移行期医療の支援）
- ・ 国立成育医療研究センターA Iホスピタル構想

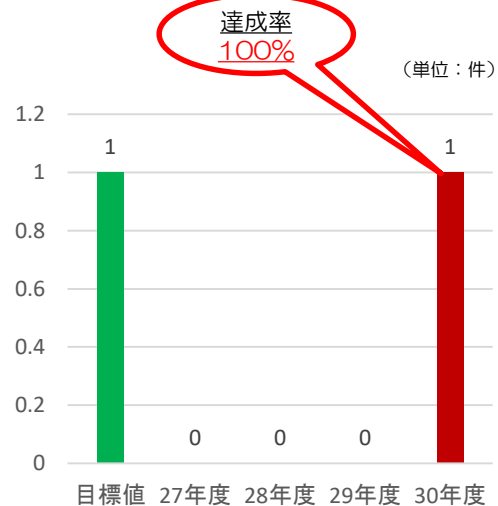
<定量的指標>

(1) 先天性免疫不全症に対する遺伝子治療

○ 遺伝子治療数

(目標値)

- 30年度計画：1 (件/年)
- 30年度実績：1 (件/年)
- 達成率：100%



(2) 出生前遺伝学的検査

○ 出生前遺伝学的検査件数

(目標値)

- 30年度計画：1,000 (件/年)
- 30年度実績：1,267 (件/年)
- 達成率：126.7%



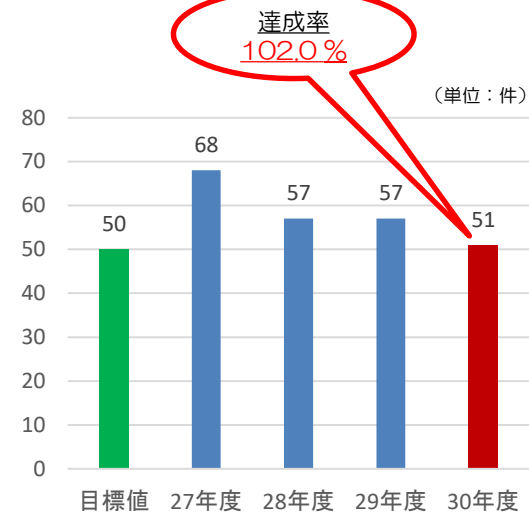
(3) 肝臓移植

○ 肝臓移植実施件数

- 生体肝移植症例数は国内最多
- 優れた手術手技、周術期管理
- 移植後に重篤となりうるウイルス感染症の早期発見・治療介入
- ⇒術後生存率は世界トップレベル

(目標値)

- 30年度計画：50 (件/年)
- 30年度実績：51 (件/年)
- 達成率：102.0%

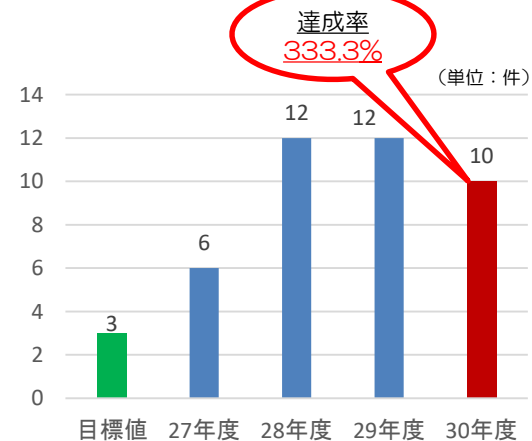


(4) 医療安全および感染対策研修会

○ 研修会開催数

(目標値)

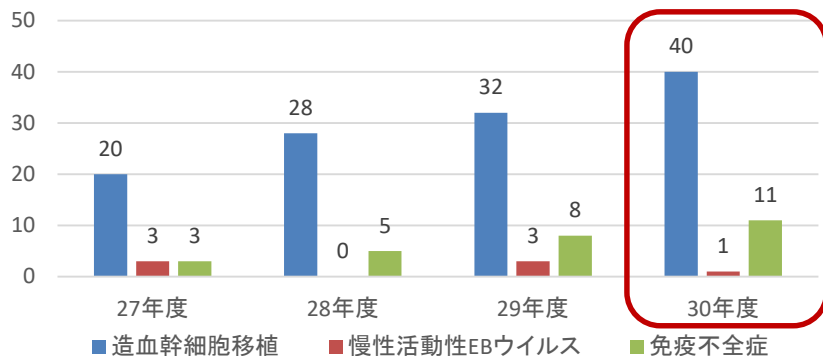
- 30年度計画：3 (件/年)
- 30年度実績：10 (件/年)
- 達成率：333.3%



(1) 骨髄移植実施件数 (評価書52頁)

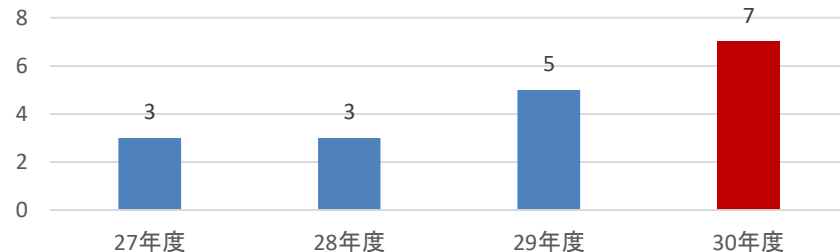
小児分野の移植件数は、国内最多

(単位：件)



(3) 腎臓移植実施件数 (評価書54頁)

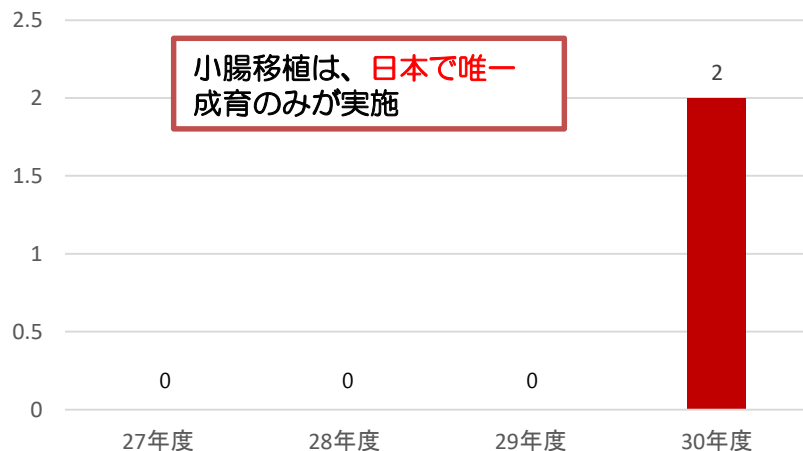
(単位：件)



(2) 小腸移植実施件数 (評価書54頁)

小腸移植は、日本で唯一
成育のみが実施

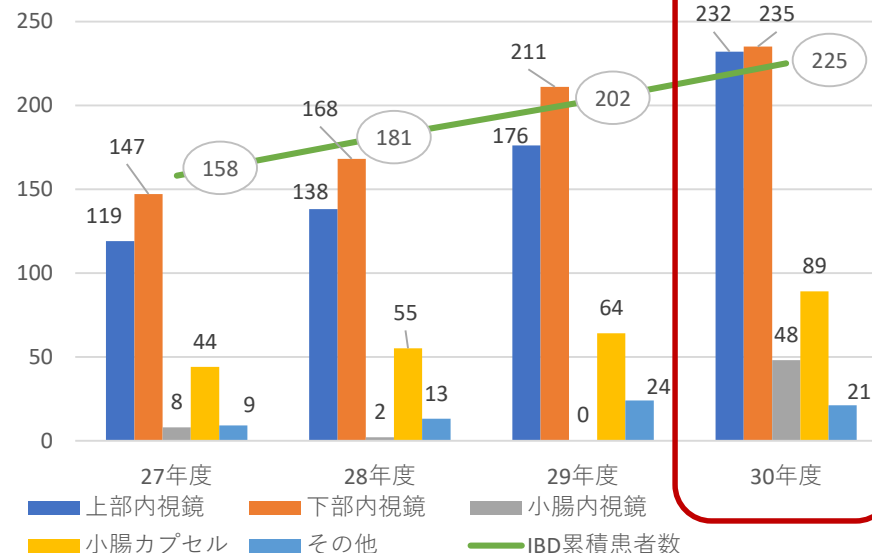
(単位：件)



(4) 消化器内視鏡検査数 (評価書49頁)

上部内視鏡検査及び下部内視鏡検査の実施件数は国内最多

(単位：件)



① 発達障害（特にディスレクシア）に関する診療技術の指導や、交換研修を企画し、医療の均てん化に貢献（評価書59頁）

日本初のディスレクシア（発達性読み書き障害）外来

【こころの診療部 児童・思春期メンタルヘルス診療科】（対象者：小学校1年生から中学校3年生までの日常生活行動や学習に困難を抱えた子どもを対象）

※全国の医療機関では唯一の専門外来 3年間で新患143名受診（平均9.1歳、男児101名）

診断 → ひらがな音読検査開発（研究班での成果物）

日本で唯一の検査

D285認知機能検査 その他の検査「1」容易なもの 80点

診療報酬点数表

有病割合は、**小学校1年生から中学校3年生までの児童50人の内1人（2%）程度**



治療 → T式ひらがな音読支援の開発

2段階方式による音読指導
RTIモデルによる早期発見

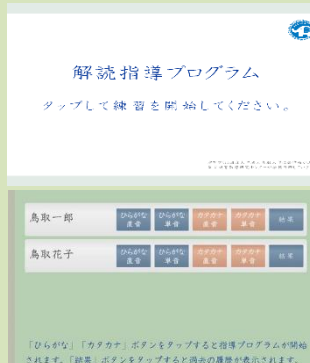
1 解説指導・・・アプリでの練習

- ・表記された文字の読みとの対応を練習
- ・誤学習文字の解説も大切

2一目で把握できる「単語の形体」を見分ける指導

= “語彙指導”

- ・単語の範読 → 音読
- ・意味を学ぶ
- ・例文を作る



3週間で
効果が現れる

約9割の患者で症状が緩和し、3~4割の患者では、**学校の成績が改善（希望高校に進学可能）**

医療者の養成

→ 外来の陪席と診療技術指導、検査法の伝授（2018年度 医師のべ10名（6医療機関）、心理士3名）

学校との連携

→ RTIモデルによる早期発見（顕在化しにくい子どもたちへの早期の気づきと対処）

都教委との共同制作リーフレット



② 赤ちゃんの頭のかたち外来(形成外科)～頭蓋縫合早期癒合症の早期発見。神経運動発達のスクリーニングに利用できる可能性～ (評価書49頁)

症状 胎生期や生後の外圧による頭蓋変形
Deformational plagiocephaly (DP)
変形性斜頭

- ・SIDS予防のために仰向け寝を推奨されて以降増加している。
- ・欧米では就学齢までの運動・言語・認知の遅れを高率に認める。
- ・頭蓋縫合早期癒合症との鑑別が必要である。

薬機法承認の課程

2013年9月 医療ニーズの高い医療機器検討委員会に申請
2014年5月 医療ニーズの高い医療機器として選定される
(適応疾患の重篤性B 医療上の有用性B)
2017年8月 メディカルU&Aより医療機器製造販売承認申請
2018年1月 一般名称の新設：頭蓋形状矯正ヘルメット
2018年4月 医療機器として承認 (class II) **薬機法承認**
販売名：ミシガン頭蓋形状矯正ヘルメット
承認番号：23000BZX00094000

診察

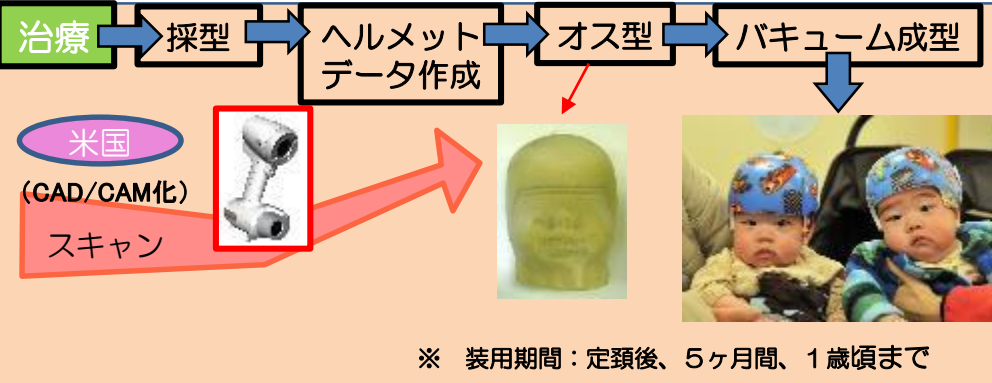
目的 DPの診断・治療、DPの啓発・予防
頭蓋縫合早期癒合症の早期発見

構成 形成外科+技師装具士
(リハビリテーション科)

外来 週1回の専門外来

・2011年から、頭蓋縫合早期癒合症の早期発見を目的の一つとして、変形性斜頭症を対象に開設している。

・通常の健診で診断されず、当外来で初めて診断された頭蓋縫合早期癒合症を4例認めた。



○内視鏡補助下縫合切除術+ヘルメット療法

従来の頭蓋形成術より低侵襲。
1998年にJimenezらによって、舟状頭蓋に対して、良好な形態が得られたと報告された。

成育では2002年に前斜頭蓋に手術を施行(国内第一例)し、良好な結果を得ている。
(左写真は当センター症例)

1: Jimenez DF and Barone CM. J Neurosurg, 1998.

現在の取り組み

○形状誘導ヘルメットの薬事承認の取得
日本形成外科学会から医療ニーズの高い医療機器検討会に申請
日本メディカルU&A社が2018年4月に承認取得

○普及の促進 (広報活動)
学会、研究会等での発表、日本頭蓋形状誘導療法研究会活動(クラニオシノストロシス研究会と同日に開催)、形状誘導療法の啓発、情報共有、技術の均てん化、今後はユースターズミーティングを計画中

○施設見学の積極的受け入れ (医療技術の均てん化)
2017年
大阪市立総合医療センター 形成外科1
高槻病院 小児脳神経外科1 義肢装具士2
2018年
兵庫県立こども病院 脳神経外科1
高槻病院 小児脳神経外科2
佐賀大学 形成外科2 義肢装具士1
田辺中央病院 脳神経外科1
看護師1 クラーク1

○当センター診療システム 導入済み施設一覧
大阪市立総合医療センター
高槻病院
田辺中央病院
佐賀大学
兵庫県立こども病院
新潟医療センター

○当センター診療システム検討施設一覧
慶応義塾大学
東海大学
神奈川県立こども医療センター
長野こども病院
※既に、当センターにおいてヘルメットを作成し、自施設での調整例は5例以上である。

○保険適応の働きかけを検討中
医原性(NICU症例、頭部・頸部の病変)
胎生期からの変形(多胎、異常胎位など)

○内視鏡補助下縫合切除術
専門医への紹介年齢が早まることで、内視鏡補助下縫合切除術普及を目指す。

③ トランジション外来（小児期・思春期から成人期への移行医療の支援）（評価書56頁）

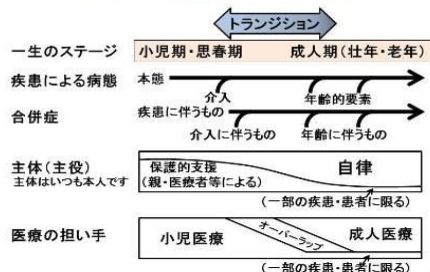
トランジション（移行）外来

多くの医療継続が必要な子どもが大人になってく時代となった。当センターでは、小児専門医療機関のみでの対応が困難となり、子どもから大人になった患者に「最適の診療体制を構築するためにも考え、他の医療機関への紹介・連携を含めた医療のさまざまな選択肢を提供する」という方針とした。

トランジションとは

・小児期に開始された医療を成人期にも継続する必要がある患者は、小児期の医療に代わって最終的には成人期にふさわしい医療が提供されるべきであることから「移行期の患者」と呼ばれます。また、その過程を「トランジション」あるいは「移行」と呼びます。

トランジション医療の概念図



- ① 患者主体の成人医療への移行支援
 - ・年齢に見合ったヘルスリテラシーの獲得
 - ・メンタルヘルスの維持
 - ・家族、親子関係の成長の支援
 - ・本来の学力・能力に見合った就学、就労
- ② 診療連携の調整・支援

88名 24% 183名 50% 93名 26%

2015年9月～2019年3月
(開設より3年半) 対応患者数 364名
(男性：182名 女性：182名)

(専門的提言)

・当センターでは、「トランジション外来」を開設し、日本小児科学会の移行支援委員会、日本プライマリ・ケア連合学会、国立国際医療研究センター、東京医療センターなどと協働し、科学的見地から成人移行支援について、専門的提言を行った。

(啓発活動)

・トランジション外来を継続することにより、病院の内外に当センターの移行医療に対する姿勢を示すこととなり、トランジション外来の運営をテーマとした講演依頼を多く受け、啓発活動を行った。全国に先駆けたこの取り組みは、当センターのプレゼンスの向上に繋がり、患者・家族や専門診療科の理解も深まった。

(診療実績)

・トランジション外来（開設から3年半経過）を受診した全患者数は、364名。本年度は、162名（前年度85名）に増加した。
内訳：看護師の面談：延べ710回（前年度496回）
医師の面談：延べ100回（前年度18回）

みんなでサポートします!!

調整役

トランジション外来看護師

多職種連携

厚生労働省のモデル事業

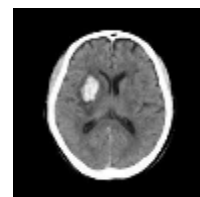
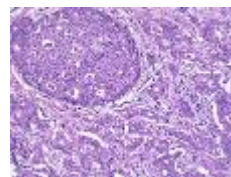
・改正児童福祉法に基づいて2015年1月1日より「小児慢性特定疾病児童成人移行期医療支援モデル事業」を2015年度から開始。小児慢性疾患の子どもたちが大人になってからも適切な医療機関で継続的医療を受けられることを目標。当センターは、この事業の事務局となって全国の関係者とともに取り組む。

④ 国立成育医療研究センターAIホスピタル構想 ～出生前からAYA世代までのデータを入手可能～ (評価書50頁)

妊娠（胎児期）から小児期（そして生涯）にわたる保健医療福祉情報の集積・活用

AIによるデータ解析

乳幼児健診データ



病理・放射線データ

電子カルテデータ

妊娠情報
(電子母子手帳)



BioPsychoSocial



行動の観察データ

診療支援システムの開発

患者の支援システムの開発

小児及び妊婦に優しい
Cyber-Physical-Systemを実現する。

評価項目 No. 1-4 人材育成に関する事項

自己評価 **A**

(過去の主務大臣評価 H27年度：B H28年度：B H29年度：A)

I 中長期目標等の内容

- ・ 研究倫理を含めた臨床研究に関する各種講習会やハンズオンワークショップを計30回以上実施する。
- ・ 小児科後期研修医を毎年10人以上採用し、地方の一般病院小児科での短期研修を含め、教育プログラムを充実する。

II 目標と実績との比較

以下のとおり、所期の目標を上回る成果をあげている。

【定量的指標】

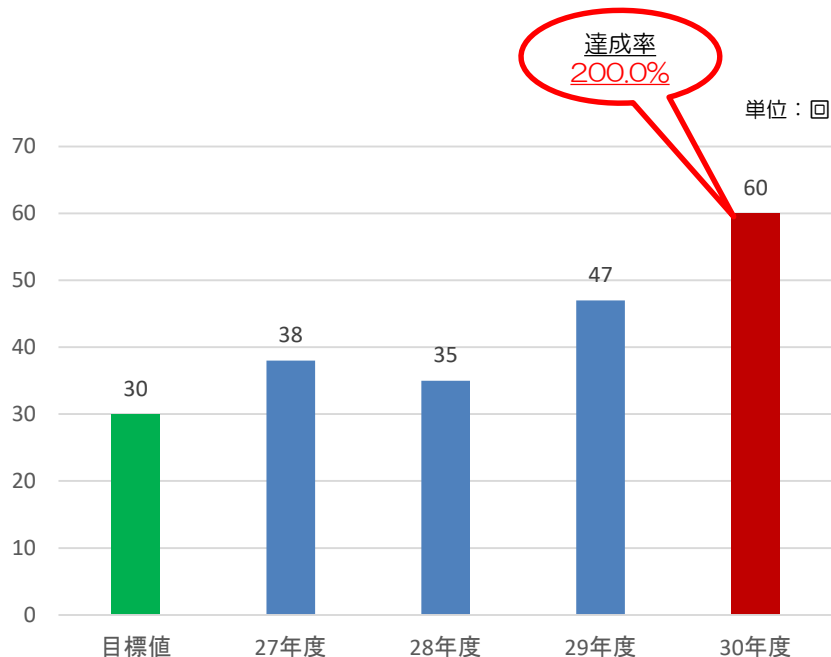
- | | | | |
|-----------------|---------------|---------------|--------------|
| ・ 臨床研究関連講習会等開催数 | 目標値： 30 (回/年) | 実績値： 60 (回/年) | (達成度 200.0%) |
| ・ 小児科後期研修医採用数 | 目標値： 10 (人/年) | 実績値： 13 (人/年) | (達成度 130.0%) |

【定性的指標】

- ・ リーダーとなる人材の育成
- ・ 国際的に通用する人材の育成
- ・ 臨床研究支援者の育成
- ・ 国内外の小児病院等との交流等

<定量的指標>

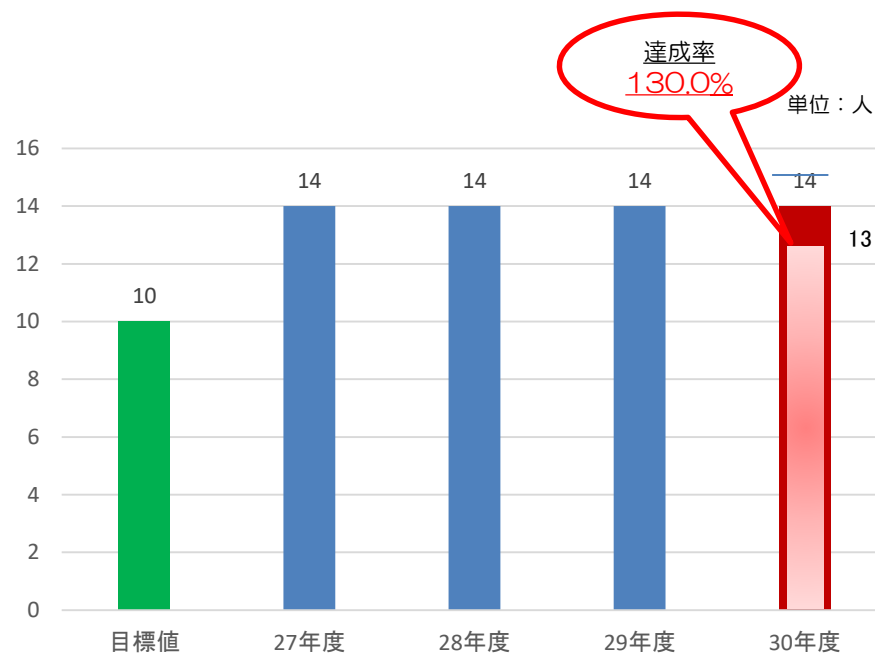
(1) 臨床研究関連講習会等開催数



(目標値)

- 30年度計画：30 (回/年)
- 30年度実績：60 (回/年)
- 達成率：200.0%

(2) 小児科後期研修医採用数



(目標値)

- 30年度計画：10 (人/年)
- 30年度実績：13 (人/年)
- 達成率：130.0%

本年度は、試験を行い定員枠である14人を合格としたが、専門医機構による東京都へのシーリング設定により、1人の採用を断らざるを得なかった。次年度は、採用人数を更に減らされる予定。

I リーダーとして活躍できる人材の育成

【中長期計画の概要】

- 成育医療に関する研究・医療等のリーダーとなる人材を積極的に育成する。
- 国際的にも通用する人材の育成に努める。
- 小児科関連学会等と連携して、治験・臨床研究を推進するための臨床研究支援者を育成する。
- 小児内科、周産期、小児外科系領域の若手医師が、国際学会での発表等を行いやすいよう支援し、世界的視野を持ったリーダーとなる人材を育成する。

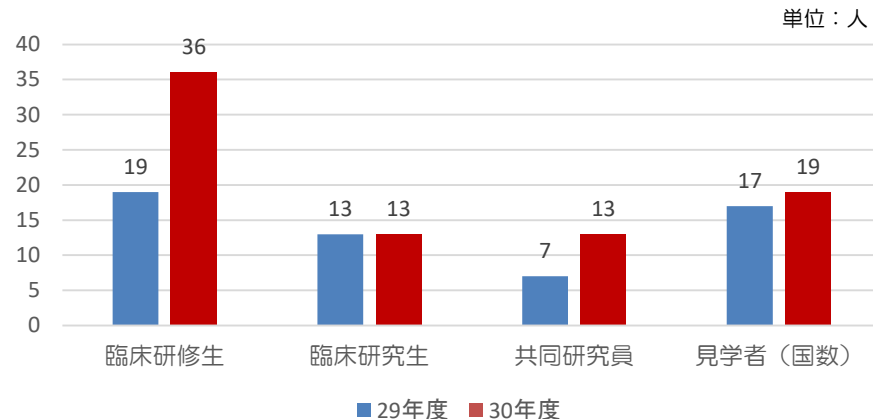
(1) リーダーとして活躍できる人材の育成（評価書67頁）

- 病院
 - ✓ 小児系、外科系、産科の合計150名以上の後期研修医を受け入れた。
 - ✓ 研修会、講習会（例：サマーセミナー、在宅医療懇話会、小児がん領域など）年間30回開催し、参加者数は、延べ2,056名であった。
- 臨床研究センター
 - ✓ ハンズオントレーニング・ワークショップの実施
 - 目的：臨床研究を主導する人材育成
 - 参加医師数（院内若手医師）：8名
 - 結果：平成30年度文部科学研究費4件、平成30年度成育医療研究開発費4件が採択された。
 - ✓ 小児科学会、小児循環器学会、小児腎臓病学会などの学術集会でブースを出展し、臨床研究相談を行った。

(2) 国際的に通用する人材の育成（評価書67頁）

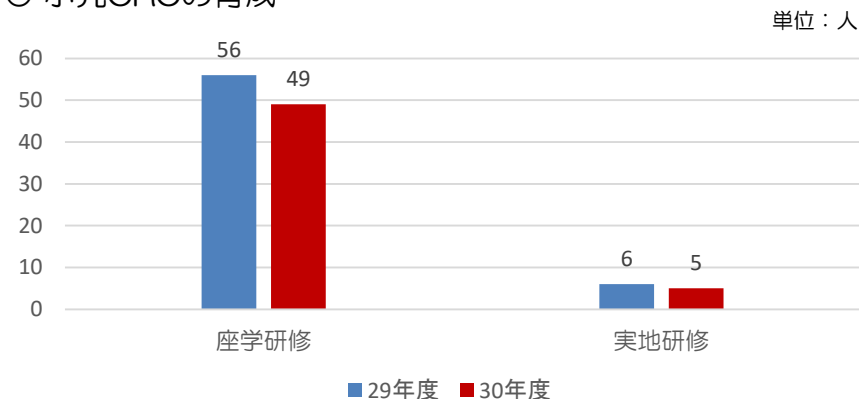
- 若手医師が、国際学会での発表、外国での研修等を行いやすいよう渡航費を支援した。
- 国際学会での発表は149回実施した。

○ 外国からの研修・見学受け入れ



(3) 臨床研究支援者の育成（評価書66頁）

○ 小児CRCの育成



(4) 国内外の小児病院等との交流等 (評価書70頁)

○ 連携協定を締結している国外の小児病院

ナショナル小児医療センター (ワシントンDC)
トロント小児院
ソウル大学小児病院
上海小児医療センター
北京小児病院
台湾大学小児病院

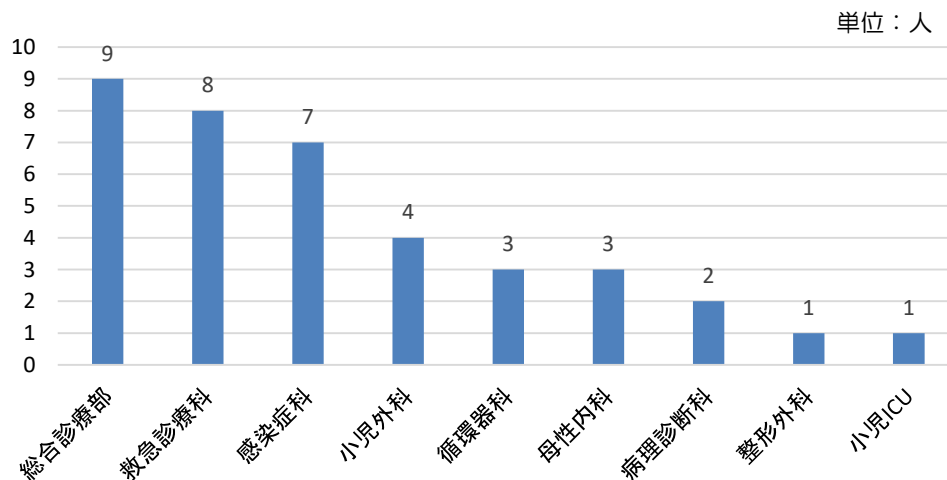
・海外から78名の研修・見学者を受け入れた。

○ 医師が現地で臨床指導など行った国

ネパール
エジプト
サウジアラビア
イラン
インドネシア
中国
モンゴル
ベトナム

・国内の小児病院等に指導者を16名派遣し、小児病院等の若手医師38名を受け入れた。

○ 国内施設からの医師臨床研修受入



評価項目 No. 1-5 医療政策の推進等に関する事項

(過去の主務大臣評価 H27年度：B H28年度：B H29年度：A)

自己評価 A

I 中長期目標の内容

- ・ 我が国の小児科医療及び周産期・母性医療並びに保健のあるべき姿について検討を進め、グランドデザインを提唱する。
- ・ 次世代育成の視点から、成育疾患に係る診療報酬体系のあり方を含め、成育医療に関わる医療政策がより強固な科学的裏付けを持ち、かつ、実情に即したものになるよう、国と連携しつつ、課題の解決策等について、科学的見地から専門的提言を行う。
- ・ 日本小児総合医療施設協議会（JACHRI）加盟施設を中心とする小児治験ネットワークを運用して、小児用薬剤の治験等を推進する。
- ・ 成育医療の均てん化等を推進するため、全国の中核的医療機関等との連携のもと、情報交換、技術助言等を行うとともに、標準的医療等の普及を図る。
- ・ 成育領域の保健医療課題に関する国内外の科学的根拠を網羅的に検索し、情報の質評価を経て、コクランライブラリー等、結果をまとめる系統的レビューを作成し、広く公開する。
- ・ 成育医療に関連した医療者・研究者向けの情報及び一般向けの情報を収集・整理し、定期的に配信する。
- ・ 小児慢性特定疾患に関する情報発信の充実を図り、国の事業を支援する。
- ・ 「妊娠と薬」に関する情報提供の拠点病院を全国に拡大し、情報発信をしていく。
- ・ 「小児と薬」に関する情報を収集し、分析し、その結果を情報発信する。
- ・ 小児の事故の発生状況に関する情報を収集するとともに、その対策の情報発信を行うシステムを構築する。

II 目標と実績との比較

以下のとおり、所期の目標を上回る成果をあげている。

【定性的指標】

- ・ 成育基本法（平成30年12月成立）
- ・ 小児の事故の発生状況に関する情報収集とその対策の情報発信を行うシステムの構築（救急診療科）
- ・ 緩和ケアとは「生命の危機に直面する疾患を持つ患者と家族の生活を支えること」
- ・ 医療型短期入所施設「もみじの家」

① 成育基本法（平成30年12月成立）（評価書8、48、74頁）

・ 関係学会、日本医師会等と連携・協力して、成育基本法の成立に尽力



成育基本法の基本理念
（抜粋・要約）

- ・ 成育過程の心身の健やかな成育を図る
- ・ 成育医療等を総合的に推進
- ・ 科学的知見に基づく適切な成育医療等の提供
- ・ 成育医療等の適切な情報提供
- ・ 次世代を担う子どもを安心して生み育てる環境を整備

リプロダクションサイクルを
連続的・包括的に捉え対処する成育医療

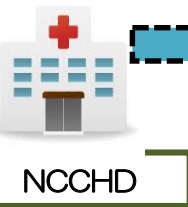


国立成育医療研究センターは、成育医療の中核的な医療機関として貢献

② 小児の事故の発生状況に関する情報収集とその対策の情報発信を行うシステムへの多大な貢献 (救急診療科) (評価書81頁)

外傷例の報告 (情報発信) 小児のけが、熱傷、中毒、事故情報など

・傷害基本情報として4,000件 (前年度3,991件) を報告
うち、詳細情報: 200件 (前年度200件)



NCCHD

・緊急で傷害情報を提供すべき
重篤な症例
→ 1件 (前年度1件) 報告

日本小児科学会
「Injury Alert」へ

・異物誤飲及び中毒情報提供
→ 400件 (前年度400件)

「医療機関ネットワーク事業」
(消費者庁と独立行政法人国民生活センター) への協力

厚生労働省医薬・生活衛生局
「家庭用品に関わる健康被害
病院モニター報告」に報告するシステムへ

「医療機関ネットワーク事業」とは

消費者庁と独立行政法人国民生活センターが共同で実施している事業です。
消費生活において、製品やサービス、施設等を利用してけがをするなどの
事故に遭い、医療機関を受診した消費者から、事故の情報を収集します。
収集した情報は、国の関係機関等で注意喚起や安全対策など事故の再発防止
への取り組みに活かしていきます。

2010年12月～2012年12月末までの医療機関ネットワーク事業への報告件数の内、承認された件数は9,889件 (13医療機関) で、その内当センターからの報告例が、**6,454件 (65.3%)** を占め、この功績により、内閣総理大臣表彰 (消費者支援功労者) を受賞。



小児の傷害情報に関して、情報収集を行い、各主要行政機関に報告を行い、行政から国民に向けて情報発信および啓発を行う賞うシステムに多大な貢献をしている。



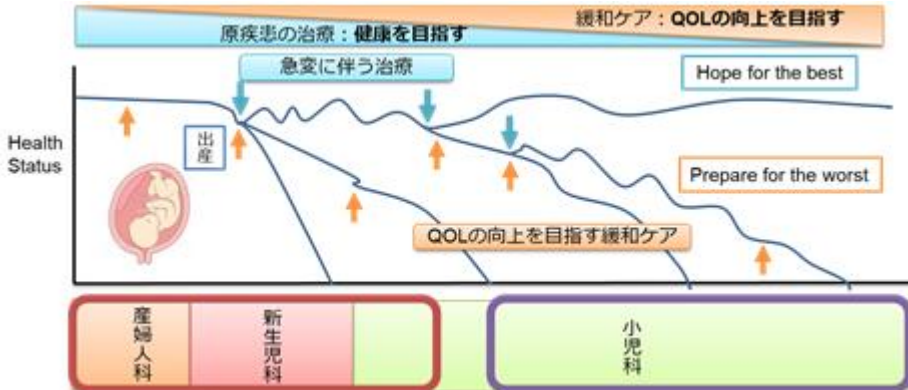
③ 緩和ケアとは「生命の危機に直面する疾患を持つ患者と家族の生活を支えること」(評価書74頁(59頁、69頁))

小児緩和ケアが担うこと

- 患者、家族の苦痛症状の緩和
- 意思決定支援
- ビリーブメントケア(死別後ケア)

非がん疾患の緩和ケアの実践

小児緩和ケアの対象の80%は周産期関連疾患・神経疾患だが日本では未整備
⇒日本におけるモデルを作成しlife courseに沿った支援を実践



周産期における緩和ケア

致死的な疾患を持つ児に対して胎児期から新生児期、乳児期とlife courseに沿って継続した症状緩和と意思決定支援の実践

神経疾患、難病に対する緩和ケア

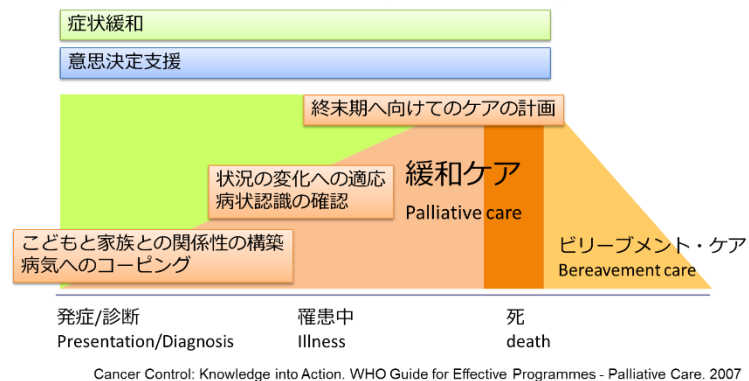
長期に亘る経過の中での症状緩和、意思決定支援の実践

介入件数は増加

| 2017年度：58件 | 2018年度：101件 | 2019年度以降 |
|---------------------------------------------------|-----------------------------------------------------------------|--------------------------------|
| 日本で初めて小児専門病院に緩和ケア科を設置 専任の診療部長赴任 非がんへの緩和ケア開始 | 緩和ケア診療加算取得開始 緩和ケア委員会の設置 もみじの家での緩和ケア病 床運用開始：日本初 | 周産期・小児緩和ケア体制の充実、モデル化し、均てん化を目指す |

小児がんに対する緩和ケアの実践

診断時から一貫した緩和ケア提供体制の整備、実践
症状評価の方法の開発、適切な薬剤選択の実践
⇒モデル化し、小児がん中央機関、拠点病院として全国へ発信



Cancer Control: Knowledge into Action. WHO Guide for Effective Programmes - Palliative Care. 2007

研究、人材育成

研究

小児緩和ケアにおける質の評価尺度の開発と測定 30-17 成育医療研究開発費
終末期の患者家族と医療従事者の話し合いの現状調査
J Pediatrics 2017, BMJ Pediatrics Open 2017
小児緩和ケアの提供体制について日本初の全国調査
J Pain Symptom Manage 2018

人材育成

小児病院で唯一の緩和医療学会認定研修指定施設：専門医の養成が可能
小児がん中央機関事業：小児緩和ケアチーム研修会(2018年度50人参加)
を始めとする講演、研修会の実践 2018年度472人が参加



終末期のこどものQOLの向上に向けた取り組み

こどもホスピスの実践

もみじの家で、2018年9月より専門的な緩和ケアを受けながら最期の時間を過ごすための病床運用を開始
日本初の取り組み：がんだけでなく非がん患者の受け入れも行う
2018年9月に非がん患者の看取りを実施

④ 医療型短期入所施設「もみじの家」 (評価書74頁)

2016年度

2017年度

2018年度

2019年度以降

平成28年4月開設



・平成28年の開設以来、目標としていた「もみじの家」での緩和ケア病床の運用を開始し、終末期に家族がともに安心して過ごせる環境を提供しながら、終末期の看取りを1名実施した。

さらに「もみじの家」での緩和ケア、看取りの医療を含め、それらのわが国における先進的成果をグローバルに広めることが、今後の目標である。

もみじの家の広報

- ・医療型短期入所施設「もみじの家」のパンフレットも作製し、年2回配布した。
- ・「もみじの家」における・もみじの家の取り組みについて、テレビ（NHK Eテレ TVシンポジウム等）・新聞（朝日新聞 医療的ケア児とともに等）・ラジオ（ラジオ日本 医療界キーパーソン等）等で計22回取り上げられた。

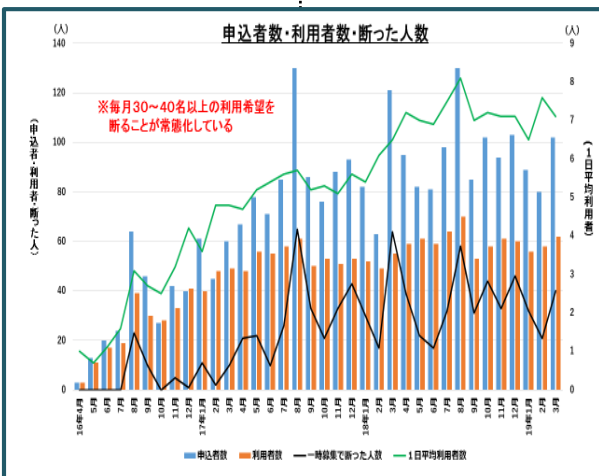
“もみじの家”を広めるために

- ・医療型短期滞在施設における管理料の値上げ、動く重心児・重症てんかん発作児への”見守り加算”の新設、日中保育活動への加算の新設の可能性などについて、他の団体・研究班と意見交換をした。

もみじの家では、24時間、看護師が医療的ケアを行います



さらに、日中活動、生活介助でも手厚いケアを提供しています



- ・受け入れ人数を少しずつ増やし、現在、毎月60~70名程度の受け入れを継続している。
- ・医療的ケア児を受入れる施設が非常に少ないため、キャンセル待ちが、常時発生している状態である。
- ・成育以外でフォローされている在宅医療的ケア児が利用を希望する場合の、入所前診察の待ち時間は3年半後となってしまった。

評価項目 No. 2-1 業務運営の効率化に関する事項

自己評価 **B**

(過去の主務大臣評価 H27年度：B H28年度：B H29年度：B)

I 中長期目標等の内容

- ・ 病院の特性や機能を明確化し、地域の医療機関との連携・機能分化を図るため、紹介率80%以上を維持し、逆紹介率は中長期目標期間中に40%以上とする。
- ・ 医師が本来の役割に専念できるよう、医師とその他医療従事者との役割分担を見直し、職員にとって魅力的で働きやすい職場環境の整備に努める。また、医師の業務軽減として、医師業務補助者や医療クラークの配置について、導入効果を検証しつつ、推進を図る。
- ・ 医療安全の向上のため、薬剤師の病棟配置をさらに推進する。
- ・ 看護師の確保対策を推進するとともに離職防止や復職支援の対策を講じ、看護師の離職率を、14.3%まで減少させる。(中長期計画)
- ・ 医療の質の向上、キャリアアップ、看護部門の強化の観点から、専門・認定看護師の配置を推進し、52人程度に増加させることを目標とする。(中長期計画)
- ・ 損益計算において経常収支率100%以上を達成する。(中長期計画)
- ・ 一般管理費については、平成26年度に比し、10.0%以上の削減を図る。(中長期計画)
- ・ 後発医薬品の使用については、数量シェアで60%以上を維持する。(中長期計画)

II 目標と実績との比較

以下のとおり、目標を達成している。

【定量的指標】

| | | | |
|------------------------|------------------------------|------------------|--------------|
| ・ 紹介率 | 目標値： 80.0 (%/年) | 実績値： 87.8 (%/年) | (達成度 109.8%) |
| ・ 逆紹介率 | 目標値： 40.0 (%/年) | 実績値： 54.7 (%/年) | (達成度 136.8%) |
| ・ 看護師離職率 (中長期計画) | 目標値： 14.3 (%/年) | 実績値： 13.6 (%/年) | (達成度 104.9%) |
| | (参考) 勤続1年未満の看護師離職率は、4.5%である。 | | |
| ・ 専門・認定看護師数 (中長期計画) | 目標値： 51.3 (人/年) | 実績値： 44 (人/年) | (達成度 85.8%) |
| ・ 経常収支率 (中長期計画) | 目標値： 100.0 (%/年) | 実績値： 103.5 (%/年) | (達成度 103.5%) |
| ・ 一般管理費 (中長期計画) | 目標値： △10.0 (%/年) | 実績値： △21.5 (%/年) | (達成度 215.0%) |
| ・ 後発医薬品使用数量シェア (中長期計画) | 目標値： 60.0 (%/年) | 実績値： 87.6 (%/年) | (達成度 146.0%) |

<定量的指標>

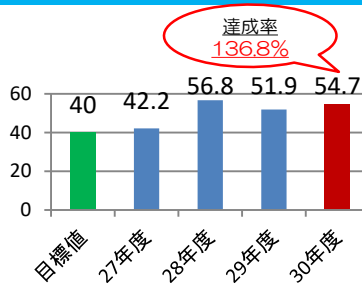
(1) 紹介率

- (目標値)
- 30年度計画 80 (%/年)
- 30年度実績 87.8 (%/年)
- 達成率: 109.8%



(2) 逆紹介率

- (目標値)
- 30年度計画 40 (%/年)
- 30年度実績 54.7 (%/年)
- 達成率: 136.8%



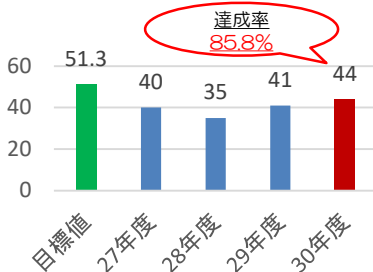
(3) 看護師離職率

- (目標値)
- 中長期計画 14.3 (%/年)
- 30年度実績 13.6 (%/年)
- 達成率: 104.9%



(4) 専門・認定看護師数

- (目標値)
- 中長期計画 51.3 (人/年)
- 30年度実績 44 (人/年)
- 達成率: 85.8%



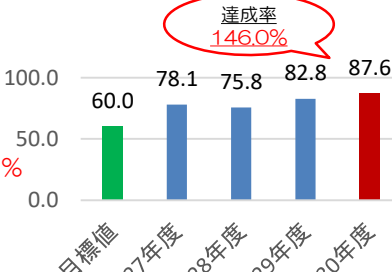
(5) 一般管理費

- (目標値)
- 中長期計画 平成26年度比 10 (%/年) 削減
- 30年度実績 21.5 (%/年) 削減
- 達成率: 215.0%



(6) 後発医薬品使用数量シェア

- (目標値)
- 中長期計画 60 (%/年)
- 30年度実績 87.6 (%/年)
- 達成率: 146.0%



その他特筆すべき事項

○ 企画戦略会議 (計11回開催) (評価書87頁)

・長期的な建物整備、センター広報、外部医療機関からの検体検査の受託業務（衛生検査所の登録）のあり方を策定した。

○ 材料費等削減 (評価書91頁)

【医薬品】

・小児疾患の治療に使用する酵素製剤、成長ホルモン等22品目は、小児病院の特性を活かし、当センター単独での入札を実施した。この入札に当たり、全国36のJACHRI施設に価格照会し、価格交渉の末、共同購入と比較した場合より18,683千円の費用を削減した。

【医療材料】

・ベンチマークシステムを導入し、全国平均に達していない品目をターゲットに価格交渉を実施し、17,382千円の費用を削減した。

○ 働き方改革 (評価書89頁)

・業務効率化、時間外労働の削減に向けた取り組みを検討および実施するため、業務改善委員会（計7回開催）を設置し、下記の取り組みを策定した。

- ①タスク・シフティング
 - ・医師事務作業補助者の増員を図り、計18名を配置した。
 - ・病棟クラーク21名を増員を承認した。
- ②非常勤医師（フェロー・レジデント）の常勤化を承認した。
- ③新しい勤怠管理システム導入を承認した。

評価項目 No. 3-1 財務内容の改善に関する事項

自己評価 B

(過去の主務大臣評価 H27年度：B H28年度：B H29年度：B)

I 中長期目標の内容

- ・ 治験や臨床研究による受託研究費、共同研究費等の外部研究資金の更なる獲得に努める。
- ・ センターの機能の維持・向上を図りつつ、投資を計画的に行い、中・長期的な固定負債（長期借入金の残高）を償還確実性が確保できる範囲とし、運営上適切なものとなるよう努める。そのため、医療機器等の投資に当たっては、原則、償還確実性を確保する。

II 目標と実績との比較

以下のとおり、目標を達成している。

【定性的指標】

- ・ 小児治験ネットワークを介して実施した治験収益の確保
- ・ 平成29年度以降、3期連続の黒字決算を達成

○ 小児治験ネットワークを介して実施した、治験の収益

○ 経常収支率

(単位：千円)

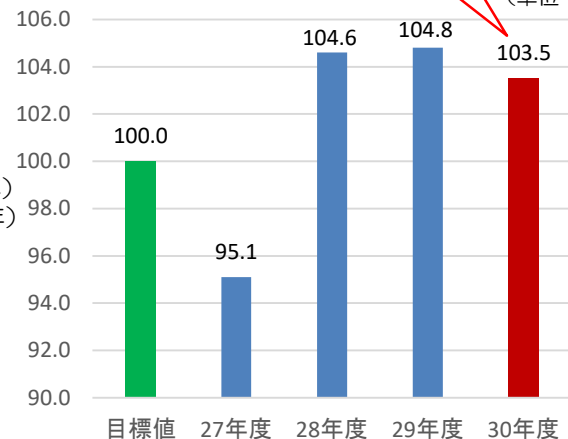
3期連続
黒字達成

(目標値)

- 中長期計画：100.0 (%/年)
- 30年度実績：103.5 (%/年)
- 達成率：103.5%

達成率
103.5%

(単位：%)



その他特筆すべき
事項

○ 外部有識者を含めた「空調・電気設備等の整備計画策定に関する検討会」を立ち上げ (評価書104頁)

○ 健全な財務内容 (評価書104~105頁)

○ 「小児医薬品開発コンソーシアム研究会」の本格始動 (評価書102頁)

・ 小児治験ネットワークのホームページ更新、治験実施可能性調査マニュアル等を整備した。

・ 今後のセンター各設備の更新・修理等の優先順位付けを実施し、中・長期的な整備方針について、整理することとした (本年度開催実績3回)。
 ・ 経年劣化により修繕が必要となる設備等については、計画的・効率的に整備する必要がある設備等を決定し、コストの合理化・適正化に努め、コスト削減を図る。
 ・ 次年度に方針策定予定。

・ 当センターの機能の維持・向上を図りつつ、投資を計画的に行い、中・長期的な長期借入金を償還確実性が確保できる範囲の基、運営上適切に管理している。
 ・ 約定どおりの償還を適切に実施した。
 ・ 損益計算において経常収支率が、3期連続で100%以上を達成した。
 ・ 短期借入はない。

評価項目No. 4-1 その他の事項

自己評価 A

(過去の主務大臣評価 H27年度：B H28年度：B H29年度：B)

I 中長期目標等の内容

- ・ 監査室による内部監査を年5回実施するとともに、監事による業務監査及び監査法人による外部監査を実施し、三者の連携により監査の実効性を高める。
- ・ 医薬品や医療機器の実用化に向けた出口戦略機能の強化や、新たな視点や発想に基づく研究等の推進のため、独立行政法人医薬品医療機器総合機構等との人事交流を推進する。具体的には、2.3人程度に増やすことを目標とする。(中長期計画)
- ・ 医療の質の向上及びキャリアアップの観点から、国立高度専門医療研究センター等との間における看護師及びコメディカルの人事交流をさらに推進する。具体的には、15.8人増やすことを目標とする。(中長期計画)

II 目標と実績との比較

以下のとおり、定量指標の達成度が平均 215.3%であり、目標を達成している。

【定量的指標】

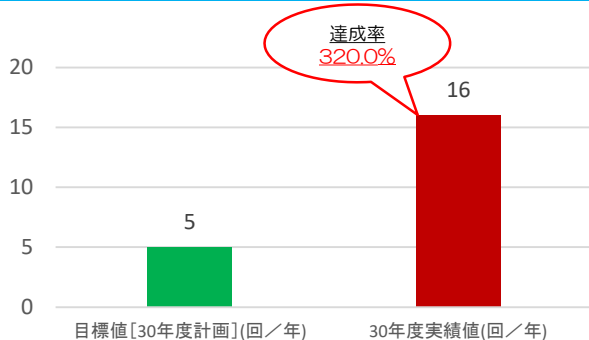
| | | | |
|------------------------------------|-----------------|---------------|--------------|
| ・ 内部監査実施回数 | 目標値： 5 (回/年) | 実績値： 16 (回/年) | (達成度 320.0%) |
| ・ PMDA等人事交流人数 (中長期計画) | 目標値： 2.3 (人/年) | 実績値： 4 (人/年) | (達成度 173.9%) |
| ・ NHO等看護師及びメディカルスタッフ人事交流人数 (中長期計画) | 目標値： 15.8 (人/年) | 実績値： 24 (人/年) | (達成度 151.9%) |

【定性的指標】

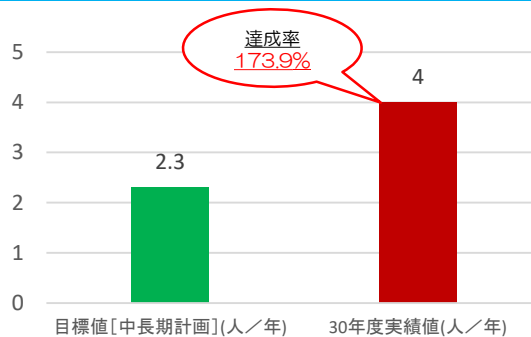
- ・ 内部統制委員会を2回開催し、リスク対応計画を審議
- ・ ハラスメント対策として、コンプライアンス研修及びハラスメント研修を実施
- ・ 企画戦略会議を開催し、「今後の広報戦略」を策定

<定量的指標>

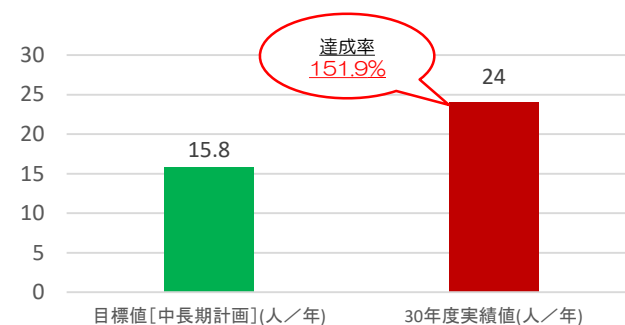
(1) 内部監査実施回数



(2) PMDA等人事交流人数



(3) NHO等看護師及びメディカルスタッフ人事交流人数



その他特筆すべき事項

○「今後の広報戦略」を策定 (評価書117~119頁)

【中長期計画の概要】

研究・開発の成果や取組の科学技術的意義や社会経済的価値をわかりやすく説明。一般の国民が理解しやすい方法、内容で、ホームページ等で情報開示する。

- ・ 成育医療・研究・開発などの情報を発信するため、「広報企画室」の設置を決定した。
- ・ 総合的なセンターのパンフレット2019年版（日本語・英語併記）を作成し、3つの項目を追加した。

- ①数字で見る成育（患者特性別に受診患者数を明示）
- ②写真で見る成育（地域との交流イベントなどを説明）
- ③寄付の種類（目的、使用内容を詳しく説明）

・ 本年度より、センターホームページを見やすく改善し、総合トップ画面からの詳細ページへの遷移率は、57.7%（前年度43.5%）と向上した。

○ 内部統制委員会の開催（2回開催） (評価書110頁)

- ・ 内部統制委員会でリスク対応計画について、審議した。それを踏まえ、次年度より、リスク項目ごとに内部統制委員会で内部統制の適否を検討予定である。

○ ハラスメント対策の充実 (評価書117頁)

- ・ コンプライアンス及びハラスメントの研修は、コンプライアンス室が主催し、外部講師等を招き、平成30年8月21日に管理職のためのハラスメント研修を実施した。

平成30年度財務状況

【貸借対照表：平成31年3月31日】

(単位：億円)

| 資産の部 | | 負債の部 | |
|------|-------|---------|-------|
| 資産 | 516.2 | 負債 | 132.6 |
| 流動資産 | 101.2 | 流動負債 | 62.0 |
| 固定資産 | 415.0 | 固定負債 | 70.6 |
| | | 純資産の部 | 383.6 |
| | | 純資産 | 383.6 |
| 資産合計 | 516.2 | 負債純資産合計 | 516.2 |

※計数は原則としてそれぞれ四捨五入しているため、端数において合計とは一致しないものがある。

【損益計算書：平成30年度】

(単位：億円)

| 勘定科目 | 金額 | 勘定科目 | 金額 |
|---------|-------|----------|-------|
| 経常費用 | 259.4 | 経常収益 | 268.5 |
| 業務費用 | 247.6 | 業務収益 | 225.0 |
| 給与費 | 117.2 | 運営費交付金収益 | 32.4 |
| 材料費 | 59.2 | 補助金等収益 | 4.2 |
| 委託費 | 29.5 | その他 | 7.0 |
| 減価償却費 | 17.4 | | |
| その他 | 24.3 | | |
| 一般管理費 | 10.8 | | |
| 財務費用 | 0.6 | | |
| その他経常費用 | 0.5 | | |
| 臨時損失 | 1.3 | 臨時利益 | 0.9 |
| 当期純利益 | 8.7 | | |
| 経常収支率 | 103.5 | 総収支率 | 103.4 |

※計数は原則としてそれぞれ四捨五入しているため、端数において合計とは一致しないものがある。

【キャッシュ・フロー計算書：平成30年度】

(単位：億円)

| 区分 | 金額 |
|---------------|---------|
| I 業務活動によるCF | 28.2 |
| 支出 | △ 240.7 |
| 収入 | 268.9 |
| II 投資活動によるCF | △ 9.4 |
| 支出 | △ 29.4 |
| 収入 | 20.0 |
| III 財務活動によるCF | △ 5.5 |
| 支出 | △ 13.4 |
| 収入 | 7.9 |
| IV 資金増加額 | 13.3 |
| V 資金期首残高 | 39.7 |
| VI 資金期末残高 | 53.0 |

※計数は原則としてそれぞれ四捨五入しているため、端数において合計とは一致しないものがある。

平成30年度財務状況

【損益計算書比較】

(単位：億円)

| 区分 | 29' 決算額 (A) | 30' 決算額 (B) | 差額 (B) - (A) |
|-------|-------------|-------------|--------------|
| 経常収益 | 262.7 | 268.5 | 5.8 |
| 経常費用 | 250.7 | 259.4 | 8.7 |
| 臨時利益 | 0.1 | 0.9 | 0.8 |
| 臨時損失 | 1.0 | 1.3 | 0.3 |
| 経常収支差 | 12.0 | 9.1 | △2.8 |
| 総収支差 | 11.0 | 8.7 | △2.3 |

※計数は原則としてそれぞれ四捨五入しているため、端数において合計とは一致しないものがある。

【参考：運営費交付金の推移】

(単位：億円)

| 年度 | 22年度 | 23年度 | 24年度 | 25年度 | 26年度 | 27年度 | 28年度 | 29年度 | 30年度 |
|--------|------|------|------|------|------|------|------|------|------|
| 運営費交付金 | 50.1 | 46.7 | 43.3 | 40 | 35.8 | 32.5 | 32.7 | 33.5 | 34 |

