

本館棟

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



令和2事業年度実績評価書説明資料

(令和2年4月1日～令和3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	10
1-3		医療の提供に関する事項	S	17
1-4		人材育成に関する事項	A	24
1-5		医療政策の推進等に関する事項	A	26
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	29
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	32
4-1	その他の事項	その他業務運営に関する重要事項	A	34
-	令和2年度財務状況			37

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
- ◇ 病院
- ◇ 臨床研究センター

4. 役職員数

- ◇ 役員数（令和2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（令和3年1月1日現在）
常勤 1,354名 非常勤 484名

5. 病院の規模

- ◇ 病床数（一般）490床
- ◇ 患者数（令和2年度実績）
 - ・入院患者数（1日平均） 334.6人
 - ・外来患者数（1日平均） 828.9人

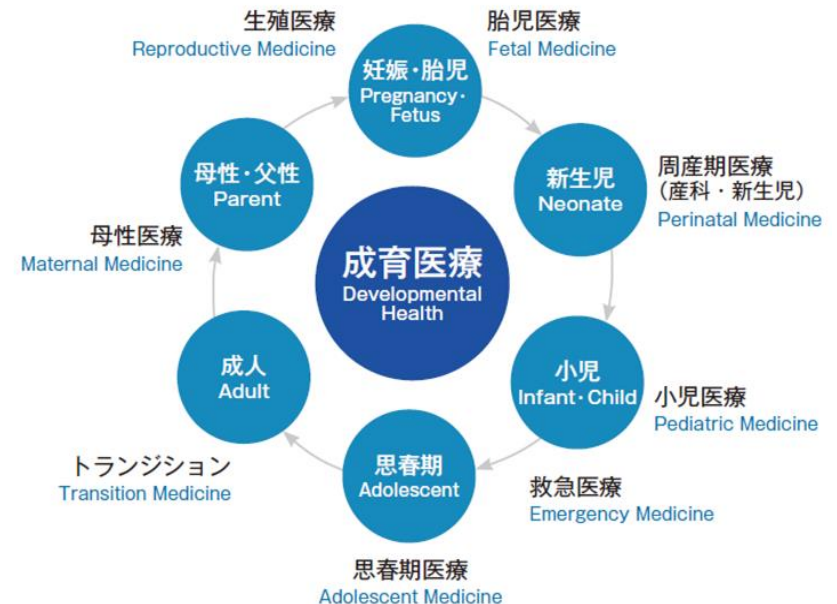
6. センターの理念

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

高度先駆的医療の開発、普及
による公衆衛生の向上、増進

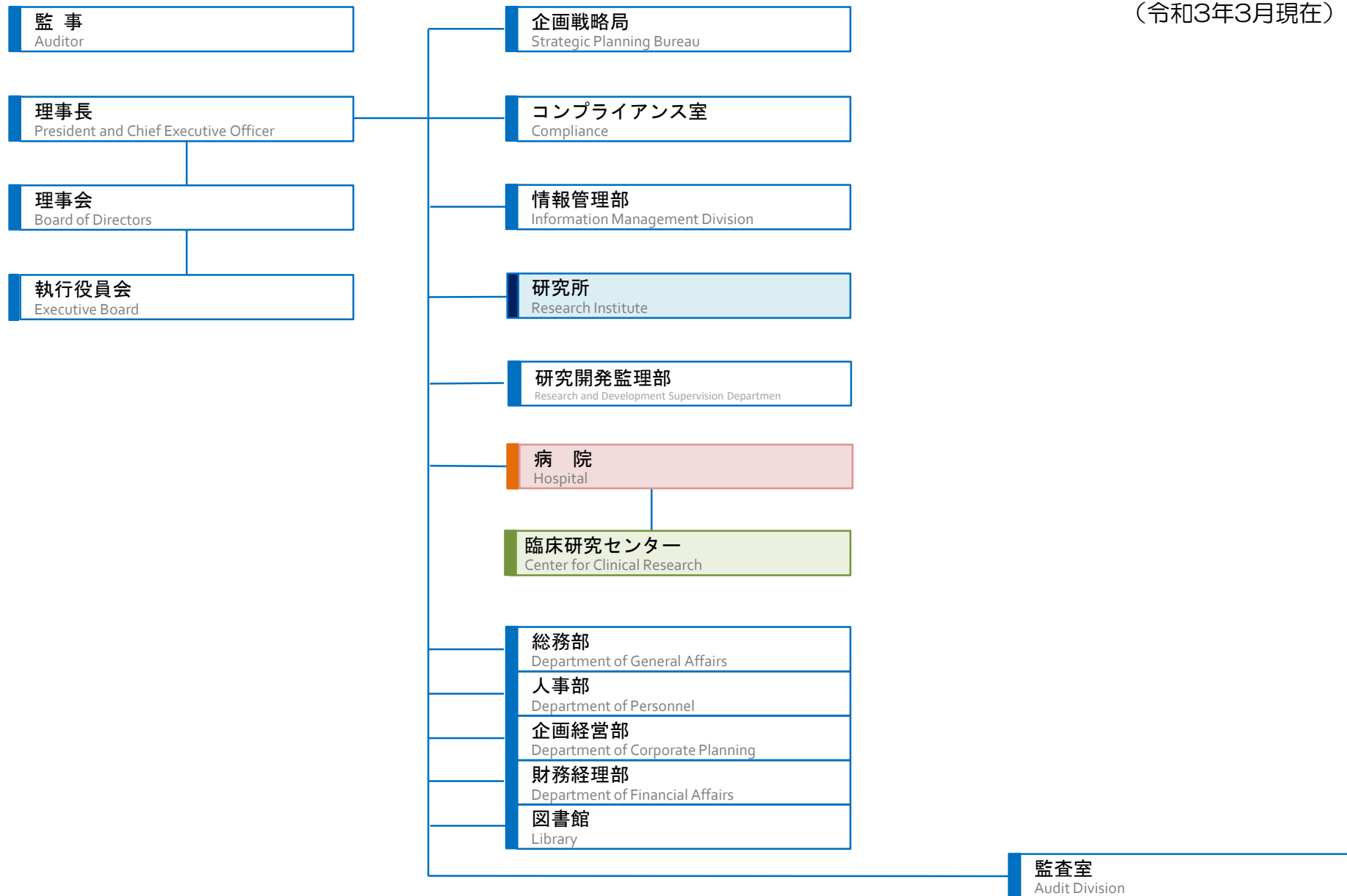
効率的な業務運営体制に関する事項

- 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

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

(令和3年3月現在)



評価項目No. 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

難易度	高
重要度	高

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 H30年度:S R元年度:S)

I 中長期目標の内容

- ・医療推進に大きく貢献する研究成果を中長期目標期間中に12件以上あげる。
- ・中長期目標の期間中に平成26年度に比べ、原著論文発表数を5%以上増加させる。

【重要度「高」の理由】

・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 指標の達成状況 (※達成度については小数点第2位を四捨五入して計算)

目標(指標に関連する項目を箇条書きで簡潔に記載すること)	指標	令和2年度		令和元年度	平成30年度	平成29年度	平成28年度	平成27年度
		実績値	達成度	達成度				
医療推進に大きく貢献する研究成果を中長期目標期間中に12件以上	医療に大きく貢献する研究成果 (目標値: 中長期目標期間中に12件〔年間2件〕)	5件	250.0%	200.0%	150.0%	150.0%	150.0%	150.0%
中長期目標の期間中に平成26年度に比べ、原著論文発表数を5%以上増加	原著論文発表数 (目標値: 中長期目標期間中に350.7件)	435本	124.0%	118.6%	114.1%	112.3%	109.8%	105.2%

・要因分析(実績値/目標値が120%以上又は80%未満)

指標	要因分析(①「制度、事業内容の変更」、②「法人の努力結果」、③「外部要因」のいずれかに分類して分析すること) 同一指標で2年続けて達成度が120%以上又は80%未満の場合は、目標変更の要否についても記載すること。
医療に大きく貢献する研究成果 (目標値: 中期計画期間中に12件〔年間2件〕)	<ul style="list-style-type: none"> ・②【法人の努力結果】「世界初のES細胞由来肝細胞を使った人への移植によるES細胞由来の再生医療製品の実用化」、「性分化疾患の新規発症原因と病態を解明し、診断法と治療法の開発」、「10万規模の乳児におけるアレルギー疾患・症状や実態の解明」等の研究を推進した結果。 ・【目標変更の要否】第3中長期目標より「医療推進に大きく貢献する研究成果を中長期目標期間中に20件以上」を数値目標を変更している。

<p>原著論文発表数 (目標値: 中長期目標期間中に350.7件)</p>	<p>・②【法人の努力結果】成育疾患について、その診断・治療並びに予防法の開発を目指すため、社会医学研究、基礎研究及び臨床研究を相互に連携させることにより、総合的な研究・開発を推進した結果。</p>
---	---

Ⅲ 評価の根拠

根拠	理由
<p>世界初のヒトES細胞由来肝細胞の製造を完了。</p>	<p>2019年10月21日より医師主導治験「先天性尿素サイクル異常症に対する HAES 移植治療の医師主導治験—新生児期発症型患者を対象とした探索的試験—」を、有毒なアンモニアを体内で分解できない尿素サイクル異常症の新生児(生後 6 日目)に対して実施した。現在までに3症例の移植が完了している。再生医療等製品としてのヒトES細胞由来肝細胞の製造は世界初である。これまで肝移植までたどりつけなかった患者を、より安全に肝移植までつなぐことが可能となった。</p>
<p>性分化疾患の新規発症原因と病態を解明し、診断法と治療法を開発。</p>	<p>性分化疾患を招くMAP3K1スプライス異常およびSMCHD1機能喪失バリエントの同定(Sci Rep 2020)、及び女性胎児の外性器男性化に関与する新たなヒト男性ホルモンを見出した(Hum Reprod 2020)。女性化乳房症(アロマターゼ過剰症)に対するドラッグリポジショニングによる新規治療法を開発した。性分化疾患の発症機序と病態を解明し、遺伝子診断システム社会実装化と新規治療法開発を進めることで、患者の予後改善と医療費削減に貢献。</p>
<p>環境省事業「子どもの健康と環境に関する全国調査(エコチル調査)」より10万規模の乳児におけるアレルギー疾患・症状や実態の解明。</p>	<p>全国約10万人規模の初めての全国レベルでの乳幼児のアレルギー症状・疾患の実態や推移が明らかになった。1歳時即時型食物アレルギーは7.6%、鶏卵アレルギーは5.3%、牛乳アレルギーは2.1%、小麦アレルギーは0.5%であった。近年増加報告ある消化管アレルギーは1.4%。原因食物は鶏卵が最も多いことが明らかになった。</p>

ES細胞由来肝細胞を使った人への移植は世界初である。肝臓の再生医療製品の開発につながる。

①医師主導による治験「先天性尿素サイクル異常症に対する HAES 移植治療の医師主導治験—新生児期発症型患者を対象とした探索的試験—」(評価書11頁)

2018年度

自施設での製造における品質管理と有効性、安全性の製品規格に関してPMDAとの薬事戦略相談を実施した。

2019年度

2018年3月28日付けで、**ES細胞**から作った**再生医療等製品(HAES)**(図1)を、尿素サイクル異常症の新生児に移植する**医師主導治験**を国に申請した。

2020年度

2019年10月21日より医師主導治験「先天性尿素サイクル異常症に対する HAES 移植治療の医師主導治験—新生児期発症型患者を対象とした探索的試験—」を、有毒なアンモニアを体内で分解できない尿素サイクル異常症の新生児(生後6日目)に対して実施した(図2)。現在までに3症例の移植が完了している。

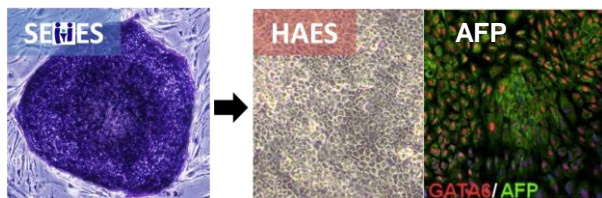
2021年度以降

橋渡しとなる肝移植も実施され、ES細胞による**世界初の肝臓への移植が成功**し国内、海外でも報道された(図3)。

2020年5月 第2例目を実施。

ES細胞由来の再生医療製品の実用化につながる。

図1 ES細胞から再生医療等製品(HAES)をつくる



ヒES細胞 位相差顕微鏡像 免疫組織化学染色

肝細胞

図2 HAESによる医師主導治験の実施



再生医療等製品(HAES)

図3 反響大きく国内・外で報道



Newborn baby in Japan given liver stem cells in transplant world first 英国 テレグラム
The treatment could help other newborn babies as they wait for transplants



The Telegraph

- 体内の窒素から生じるアンモニアが肝臓で代謝できない → 高アンモニア血症による死亡、重度の脳障害
- 肝臓移植による治療～新生児では困難

肝臓移植への橋渡し
Bridge to Transplantation

②性分化疾患の新規発症原因と病態を解明し、診断法と治療法を開発 (評価書10頁)

性分化疾患の発症機序と病態を解明し、遺伝子診断システム社会実装化と新規治療法開発を進めることで、患者の予後改善と医療費削減に貢献する。

2018年度

2019年度

2020年度

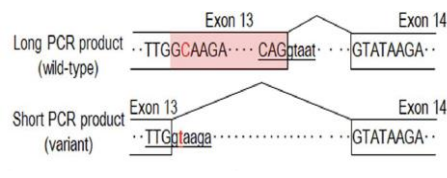
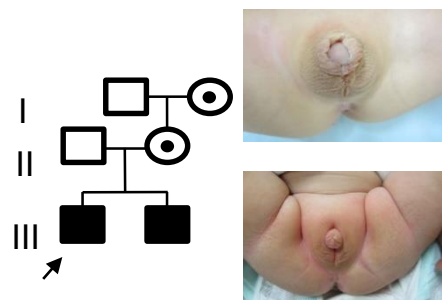
2021年度以降

- 国内外の医療機関と連携し、13,000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と、培養細胞とモデル動物を用いた機能解析法を開発。
- 高精度ステロイド定量を含む詳細な臨床解析を実施。

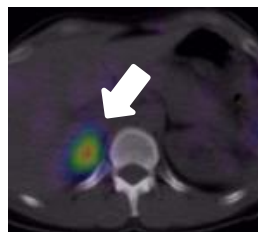
- 性分化疾患を招くMAP3K1スプライス異常およびSMCHD1機能喪失バリエントを同定した(Sci Rep 2020)。
- 女性胎児の外性器男性化に関与する新たなヒト男性ホルモンを見出した(Hum Reprod 2020)。
- 女性化乳房症(アロマターゼ過剰症)に対するドラッグリポジショニングによる新規治療法を開発した(J Clin Endocrinol Metab 2021)。

- 性分化疾患を含む先天性疾患の臨床遺伝子診断の精度向上と効率化。
- 分子基盤に基づいた新規診断法・治療法の開発。

疾患原因遺伝子変異の発見

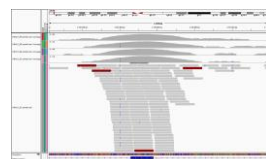


病態の解明



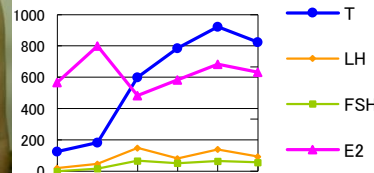
母体腫瘍でのクトテストステロン過剰産生による
 女児男性化

診断法と治療法の開発



AR, HSD3B2, HSD17B3, NR5A1, SRD5A2, SRY, WT1, ANOS1, CHD7, FGF8, FGFR1

次世代シーケンサーパネルを用いた遺伝子診断



女性化乳房症のアナストロゾールによる治療

臨床遺伝子診断の社会実装化

新規治療法の提唱

国際共同研究の推進

③環境省事業「子どもの健康と環境に関する全国調査（エコチル調査）」より10万規模の乳児におけるアレルギー疾患・症状や実態を明らかにしたことを報告（評価書12頁）

近年増加報告ある即時型食物アレルギーは7.6%、消化管アレルギーは1.4%、アレルギー増加原因の解明が今後期待される。

2018年度

2019年度

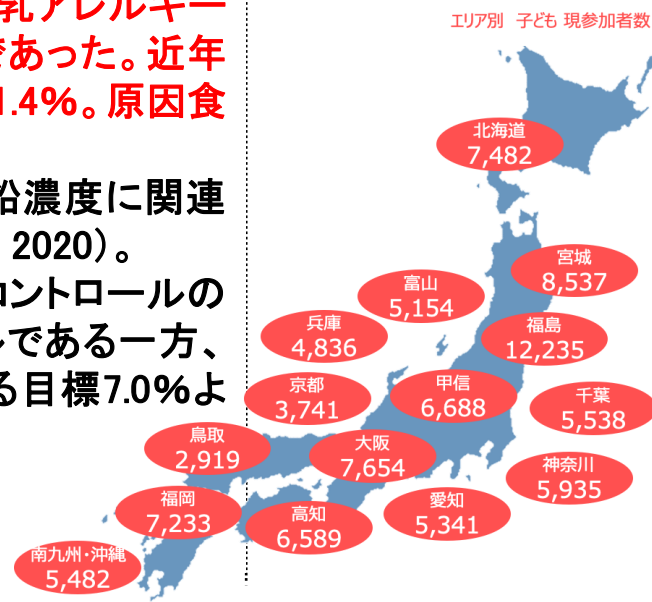
2020年度

2021年度以降

- ・2011年より10万人の母子を対象に全国15箇所の大学と国立環境研究所、成育医療研究センターが連携し実施。
- ・環境要因が子どもの健康に与える影響を明らかにすることを目的に「妊娠・生殖」、「先天奇形」、「精神神経発達」、「免疫・アレルギー」、「代謝・内分泌」を主要アウトカムとして調査。半年ごとにアンケート調査を実施。
- ・妊婦の血液・尿と臍帯血中の化学物質濃度の測定が進行中。
- ・10万人のうち、5千人を対象とした詳細調査を設置し、1.5歳と3歳で自宅環境調査を実施、また2歳より2年ごとに身体計測、発達検査、採血・採尿の対面調査を実施。
- ・エコチル調査から日本における妊婦や子どもの基礎統計を報告（J Epidemiol 2019, BMC Pregnancy Childbirth 2019, JObstetr Gynaecol 2019）。

- ・質問票調査は9歳時アンケート調査の送付を開始。学童期（小学2年生）の10万人を対象とした対面調査の継続実施。
- ・詳細調査では6歳時の検査を終了。
- ・3歳までのアンケート調査のデータ固定終了。
- ・**全国約10万人規模の初めての全国レベルでの乳幼児のアレルギー症状・疾患の実態や推移が明らかになった。1歳時即時型食物アレルギーは7.6%、鶏卵アレルギーは5.3%、牛乳アレルギーは2.1%、小麦アレルギーは0.5%であった。近年増加報告ある消化管アレルギーは1.4%。原因食物は鶏卵が最も多い。**
- ・妊娠中の母親のうつ症状と血中鉛濃度に関連はみられなかった（Neurotoxicology, 2020）。
- ・妊婦の約半数は、妊娠中の血糖コントロールの推奨目標6.5%未満のHbA1cレベルである一方、妊婦の約5%は一般的に推奨される目標7.0%よりも高いHbA1cレベルであった（J Diabetes Investig, 2020）。

- ・主要アウトカムと化学物質の関連の解析。
- ・成果からの診断・治療・予防法の開発、政策決定への応用。
- ・小児期発生アウトカム（4歳まで）に関する複数論文発表予定。



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 H30年度:A R元年度:A)

I 中長期目標の内容

- ・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し、平成26年度に比べ10%以上増加させる。
- ・職務発明委員会における審査件数を、中長期目標の期間中に、平成26年度に比べ20%以上増加させる。
- ・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、医師主導治験実施数を5件とする。
- ・先進医療承認件数を3件以上とする。
- ・臨床研究実施件数(倫理委員会にて承認された研究)を平成26年度に比し5%増加させる。
- ・治験(製造販売後臨床試験も含む)の実施件数を平成26年度に比し5%増加させる。
- ・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 指標の達成状況(※達成度については小数点第2位を四捨五入して計算)

目標(指標に関連する項目を箇条書きで簡潔に記載すること)	指標	中長期目標 期間(6年間)計		令和 2年度		令和 元年度	平成 30年 度	平成 29年 度	平成 28年 度	平成 27年 度
		実績 値	達成 度	実績 値	達成 度	達成度				
共同・受託研究を、平成26年度に比べ10%以上増加	共同研究の実施件数 (目標値:中長期目標期間中に63.8件 [年度毎63.8件])	-	-	146件	228.8%	230.4%	242.9%	228.8%	206.9%	98.7%
職務発明委員会における審査件数を、中長期目標の期間中に、平成26年度に比べ20%以上増加	職務発明審査件数 (目標値:中長期目標期間中に9.6件 [年度毎9.6件])	-	-	15件	156.3%	166.7%	93.8%	145.8%	114.6%	83.3%
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件開始	First in Human／First in Child試験実施数 (目標値:中長期目標期間中に1件)	2件	200%	-	-	100%	100%	-	-	-
医師主導治験実施件数を5件開始	医師主導治験実施件数 (目標値:中長期目標期間中に5件)	17件	340%	1件	20.0%	40.0%	80.0%	120.0%	60.0%	20.0%

先進医療承認件数を3件以上	先進医療承認件数(中長期計画) (目標値:中長期目標期間中に3件)	3件	100%	-	-	-	-	33.3%	33.3%	33.3%
臨床研究実施件数(倫理委員会にて承認された研究。)を平成26年度に比し、5%増加	臨床研究実施件数 (目標値:中長期目標期間中に196.35件〔年度毎196.35件〕)	-	-	306件	155.8%	117.6%	159.9%	129.9%	125.3%	129.9%
治験(製造販売後臨床試験も含む。)の実施件数を、平成26年度に比し、5%増加	治験実施件数 (目標値:中長期目標期間中に33.6件〔年度毎33.6件〕)	-	-	61件	181.5%	196.4%	163.7%	154.8%	116.1%	89.3%
学会等が作成する診療ガイドラインへの採用件数10件	学会ガイドライン採用件数 (目標値:中長期目標期間中に10件〔年度毎10件〕)	-	-	38件	380.0%	270.0%	280.0%	300.0%	210.0%	180.0%

・要因分析(実績値/目標値が120%以上又は80%未満)

指標	要因分析(①「制度、事業内容の変更」、②「法人の努力結果」、③「外部要因」のいずれかに分類して分析すること) 同一指標で2年続けて達成度が120%以上又は80%未満の場合は、目標変更の要否についても記載すること。
共同・受託研究を、平成26年度に比べ10%以上増加	・②【法人の努力結果】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した結果。 ・【目標変更の要否】不要。数値目標については中長期計画にて定めており、第3中長期計画において年間100件以上と数値目標を変更している。
職務発明委員会における審査件数を、中長期目標の期間中に、平成26年度に比べ20%以上増加	・②【法人の努力結果】知的財産管理・相談の強化を図った結果。 ・【目標変更の要否】不要。数値目標については中長期計画にて定めており、第3中長期計画では「年間10件以上審査する」としている。
First in Human/First in Child試験実施数 (目標値:中長期目標期間中に1件)	・②【法人の努力結果】診療部門や企業等との連携を図った結果。 ・【目標変更の要否】不要。第3中長期目標より中長期目標期間中に3件と数値目標を変更している。
医師主導治験実施件数 (目標値:中長期目標期間中に5件)	・②【法人の努力結果】他大学及び企業と連携して取組んだ結果。 ・【目標変更の要否】不要。第3中長期目標より中長期目標期間中に20件と数値目標を変更している。
臨床研究実施件数(倫理委員会にて承認された研究。)を平成26年度に比し、5%増加	・②【法人の努力結果】診療部門や企業等との連携を図りつつ、多くの臨床研究を実施。 ・【目標変更の要否】第3中長期目標より中長期目標期間中に、臨床研究実施件数(倫理委員会にて承認された研究。)の実施件数1,600件以上(年間平均267件以上)と数値目標を変更している。
治験(製造販売後臨床試験も含む。)の実施件数を、平成26年度に比し、5%増加	・②【法人の努力結果】製薬会社との連携強化による結果。 ・【目標変更の要否】第3中長期目標より「治験(製造販売後臨床試験も含む。)」は300件以上実施する」と数値目標を変更している。

<p>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(目標値:中長期目標期間中に10件〔年間10件〕)</p>	<p>・②【法人の努力結果】成育医療の均てん化に必要な診療ガイドラインについて、実用性の高いものを国内の学会と協力して作成した結果。 ・【目標変更の要否】第3中長期目標より「中長期目標期間中に、診療ガイドライン等への採用件数160件以上」と数値目標を変更している。</p>
--	---

Ⅲ 評価の根拠

根拠	理由
<p>医師主導治験によるムコ多糖症Ⅱ型中枢神経症状に対する新規治療法の開発。</p>	<p>ムコ多糖症Ⅱ型はライソゾーム酵素であるイデュルスルファーゼ®の先天性欠損に起因するX連鎖劣性遺伝病であり、国内患者数約120名程度の超希少・難治性疾患。全体の70%を占める重症型患者では、中枢神経症状(精神運動発達遅滞や神経退行症状)を呈する。静脈内投与用の酵素製剤は、血液脳関門を超えて脳内に到達することができず、中枢神経症状の進行を抑制できない。中枢神経症状に対して安全かつ有効な治療法の開発が必要である。ヒュンタラーゼ®脳室内注射薬の薬事承認取得へ貢献し、脳室内投与可能な世界初の治療薬となった。</p>
<p>医師主導治験による低垂鉛血症に対する小児用剤形の開発。</p>	<p>「低垂鉛血症」の効能効果で承認されているノベルジン錠®は錠剤であるため、小児患者では服用が困難。また、小児の投与量は、年齢と体重を考慮して決定することが世界的コンセンサスであり、体重に応じたきめ細やかな投与量調整のために小児用剤形(顆粒剤)が必要。製薬会社が当センター小児製剤ラボを活用し、GMP下で治験薬を製造。酢酸亜鉛顆粒剤の薬事承認取得へ貢献し、世界初の顆粒剤として適切な用量設定が可能になった。</p>
<p>小児医療情報収集システムによるリアルワールドデータ(RWD)収集・利活用基盤整備。</p>	<p>平成27年度から「小児と薬」情報収集ネットワーク整備事業により整備した「小児医療情報収集システム」を稼動し、小児医療施設11施設、クリニック33施設から患者データの送受信を行った。令和2年度末時点で、電子カルテデータ約64.3万人分、問診データ約7.6万人分のデータを蓄積している。このシステムを基盤として小児慢性特定疾患を対象とする疾患レジストリ構築のための基本設計を実施した。小児医療情報収集システムで収集した医療情報等の利活用要綱を整備する等、治験・臨床研究における課題解決に引き続き努めている。</p>

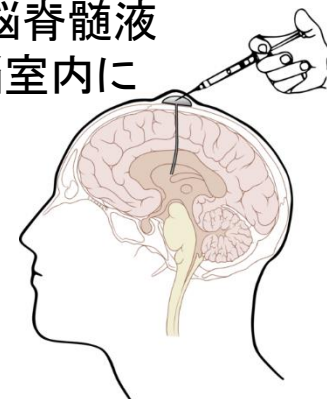
脳室内投与可能な
 世界初の治療薬

① 医師主導治験によるムコ多糖症Ⅱ型中枢神経症状に対する新規治療法の開発
 ヒュンターゼ®脳室内注射薬の薬事承認取得へ貢献 (評価書36頁)

ムコ多糖症Ⅱ型

- ・ライソゾーム酵素であるイデュルスルファーゼ®の先天性欠損に起因するX連鎖劣性遺伝病。
- ・国内患者数約120名程度の超希少・難治性疾患。
- ・全体の70%を占める重症型患者では、中枢神経症状(精神運動発達遅滞や神経退行症状)を呈する。
- ・静脈内投与用の酵素製剤は、血液脳関門を超えて脳内に到達することができず、中枢神経症状の進行を抑制できない。
- ・中枢神経症状に対して安全かつ有効な治療法の開発が必要。

頭部に植込み型脳脊髄液
 リザーバを装着脳室内に
 直接投与。



2015年度

2016年度-
 2018年度

2019年度

2020年度

非臨床試験

企業治験 (第Ⅱ相試験)

医師主導治験 (第Ⅰ/Ⅱ相試験) の実施

臨床研究センター：開発薬事、治験調整事務局、データマネジメント、モニタリング、解析を支援

2020年3月17日
 希少疾病用医薬品に指定

GCP実地調査資料作成
 照会事項対応

医師主導治験データを
 製薬会社に導出
 2020年3月31日
 製薬会社が薬事承認申請

製薬会社に対する開発薬事支援
 使用可能なリザーバ追加を交渉

2021年1月22日
 薬事承認取得

世界初の顆粒剤、適切な用量設定が可能に

②医師主導治験による低亜鉛血症に対する小児用剤形の開発
 酢酸亜鉛顆粒剤の薬事承認取得へ貢献 (評価書36頁)

- 「低亜鉛血症」の効能効果で承認されているノベルジン錠[®]は錠剤であるため、小児患者では服用が困難。
- 小児の投与量は、年齢と体重を考慮して決定することが世界的コンセンサスであり、**体重に応じたきめ細やかな投与量調整のために小児用剤形(顆粒剤)が必要。**
- 製薬会社が**当センター小児製剤ラボ**を活用し、GMP下で治験薬を製造。



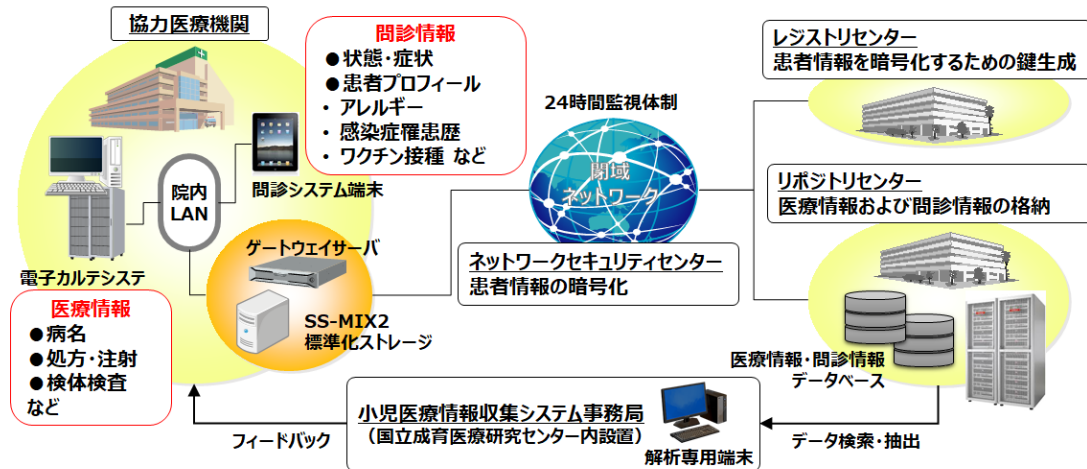
③小児医療情報収集システムによるリアルワールドデータ（RWD）収集・利活用基盤整備 小児用医薬品の安全対策の向上及び小児医薬品開発推進への貢献（評価書44頁）

小児と薬 情報収集ネットワーク整備事業および小児医療情報収集システム概要

小児と薬 情報収集ネットワークを活用して

- 小児への投与方法・投与量
- 小児での副作用等の発現状況 等の情報を収集し、解析・評価するためのデータベースを構築

- 小児医薬品の安全対策の更なる向上（添付文書への安全性情報の追加等）
- 小児医薬品の開発にも貢献
- 「子どもたちへより安心・安全な医療の提供」**



データ収集状況（患者数）

協力医療機関	医療情報	問診情報
小児医療施設（11施設）	439,926	34,895
クリニック等（33施設）	203,158	41,266
全体（44施設）	643,084	76,161

小児を対象とした医薬品の使用環境改善事業



2012-2019年度

- ・小児医療情報収集システム基本設計/構築
- ・協力医療機関選定/問診システム導入
- ・小児医療情報収集システムウェブサイト開設

2020年度

- ・協力医療機関への定期訪問および問診システム運用支援
- ・データクレンジング作業整備によるデータ品質向上
- ・クラウドへの環境移行計画立案に向けた準備および調査

2021年度以降

- ・クラウドへの環境移行計画立案/PoC
- ・問診システム運用支援/機能追加PoC

「システム構築」「データ収集」から

「データ利活用」へのシフト、そして利活用実績蓄積ステージへ

- ・研究プロトコル作成/倫理審査承認
- ・小児医療情報収集システムデータ利活用要綱整備
- ・小児を対象とした医薬品の使用環境改善事業受託
- ・解析端末増設/増強および動的BIツール導入

- ・マスターデータマネジメント整備
- ・解析環境高度化を目的とした解析用データマート構築
- ・データラングリング作業効率化
- ・傾向スコアマッチング解析ツール開発

- ・解析環境高度化を目的とした解析用データマート構築/運用
- ・アカデミア研究者を対象とした試行的データ利活用
- ・小児医療情報収集システムデータ利活用実績蓄積

④6NC横断的研究推進組織の構築及び6NC間連携の推進～6NCの英知を結集した新たな研究推進組織が誕生～（評価書45頁）

【中長期目標の内容】

6NC連携による全世代型の研究やデータ基盤の構築、研究支援等が進み、新たなイノベーションの創出が図られるよう、当面は6NC共通の研究推進組織を構築し、それぞれの専門性を活かしつつ、6NC間の連携推進に取り組んでいくこと。

【国立高度専門医療研究センター医療研究連携推進本部（JH）の概要】

1.組織

○令和2年4月、6NCの内部組織として、国立高度専門医療研究センター医療研究連携推進本部（Japan Health Research Promotion Bureau (JH)）を設置。

人員：6NC内部職員で構成。（R3.4時点 併任26名）

設置場所：国立国際医療研究センター内

2.ミッション

○NCが世界最高水準の研究開発・医療を目指して新たなイノベーションを創出するために、6NCの資源・情報を集約し、それぞれの専門性を生かしつつ有機的・機能的連携を行うことにより、わが国全体の臨床研究力の向上に資することを目的とする。

○社会ニーズと疾患構造の変化に対応しつつ、6NCの基礎・臨床・社会医学トップランナー間での有機的な連携を強化することにより、革新的な予防・診断・治療及び共生に関する医療技術の開発・実装を促進する。これにより、健康寿命の延伸をはかり、人々があらゆるライフステージにおいて幸福で活躍できる社会の実現に貢献する。

4.令和2年度の取組：JH事業計画に沿って以下の取組を行った。

①新たなニーズに対応した研究開発機能を支援・強化

- COVID-19抗体検査の実用化を支援、6NC職員での疫学調査を開始。
※実用化検査を利用した研究の一つは『JAMA oncology』（2021年5月）に掲載
- JHが支援したデジタル共通インフラとして、各NCのインターネットの超高速化やクラウド型グループウェアを利用した連携等を支援した。
- 6NCの電子カルテからの疾患情報を統合的に取得できる共通医療データベース基盤の構築を目指し、データ利活用の規程・規則等を制定し、まずは4NCを接続した。
- 研究支援（生物統計、医療情報、リサーチ・アドミニストレーション等）人材の育成に取り組むため、各NCの研究支援人材部門の実態調査等を行った。
- NC横断的なWEBセミナー等の教育機会の提供へ、各NCの教育・研修コンテンツの実態を調査等を行い、連携体制の構築を進めた。

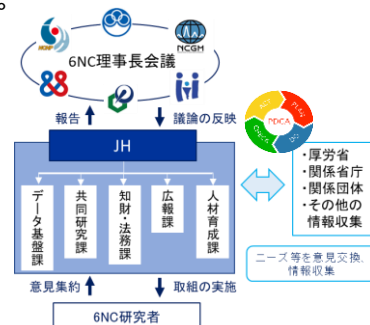
3.JH事業の進め方

①6NC理事長が協議し、具体的な取組方針及び数値目標を定めた「JH事業計画」を策定。

②JH本部長は、「JH事業計画」に基づき、最大限連携効果が得られるようJH事業を遂行。JH事業を機動的に実施できるようにするため、予算の配分・執行等の事業実施に係る権限および責任はJH本部長に集約。

③6NC理事長は、随時、JH事業に関する意見・要望等を、JH本部長に伝えることはできるが、その意見・要望等の取扱いにはJH本部長に一任。

JH本部長は、6NC理事長からの意見・要望等や、その後の対応を記録し、6NC理事長に報告。



②6NC連携で効果的な研究開発が期待される領域の取組を支援・強化

- 疾患横断的エビデンスに基づく健康寿命延伸のための提言を行った。
- 6NCの共同研究を支援するため、実験・解析基盤整備のための新規横断的研究推進事業を立ち上げた。
- 横断的研究推進事業の立ち上げ、既存の事業も含めて、効果的・効率的な進捗管理・課題評価等を行った。

③6NC全体として研究成果の実臨床への展開を支援・強化

- NC間の知財・法務に関する知見・課題の共有を図るため、知財・法務に係るNCからの相談経路を整備し、6NCの支援・強化に着手。
- JHのホームページ開設等を通して、NC間の連携の取組に関する情報提供を実施。

評価項目No. 1-3 医療の提供に関する事項

重要度 高

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 H30年度:A R元年度:S)

I 中長期目標の内容

- ・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中長期目標期間中に3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中長期目標期間中に3,000件以上実施する。
- ・国立がん研究センターとの役割分担及び連携を図りながら、中長期目標期間中に小児がん診療における新しい治療レジメンを3件以上開発することを目指す。
- ・小児臓器移植医療の一層の拡充を目指し、肝臓移植を中長期目標期間中に200件以上実施する。
- ・医療安全および感染対策に関する研修会を年2回以上開催し、全職員に受講を義務付ける。

【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 指標の達成状況(※達成度については小数点第2位を四捨五入して計算)

目標(指標に関連する項目を箇条書きで簡潔に記載すること)	指標	中長期目標期間(6年間)計		令和2年度		令和元年度	平成30年度	平成29年度	平成28年度	平成27年度
		実績値	達成度	実績値	達成度	達成度				
先天性免疫不全症に対する遺伝子治療を中長期目標期間中に3件以上	先天性免疫不全症に対する遺伝子治療 (目標値:中長期目標期間中に3件以上)	1件	33.3%	-	-	33.3%	-	-	-	-
出生前遺伝学的検査を中長期目標期間中に3,000件以上	出生前遺伝学的検査 (目標値:中長期目標期間中に3,000件以上[年間500件以上])	6,835件	227.8%	1,024件	204.8%	228.8%	253.4%	261.6%	204.0%	214.4%
小児がん診療新規治療レジメン開発件数を中長期目標期間中に3件以上	小児がん診療新規治療レジメン開発 (目標値:中長期目標期間中に3件以上)	6件	200%	2件	66.7%	66.7%	-	-	-	66.7%

肝臓移植を中長期目標期間中に200件以上	肝臓移植 (目標値:中長期目標期間中に200件以上[年間34件以上])	352件	176%	56件	164.7%	185.3%	150.0%	167.6%	167.6%	200.0%
医療安全および感染対策研修会を年2回以上開催	医療安全および感染対策研修会 (目標値:中長期目標期間中に年2回以上)	-	-	8件	400.0%	450.0%	500.0%	600.0%	600.0%	300.0%

・要因分析(実績値/目標値が120%以上又は80%未満)

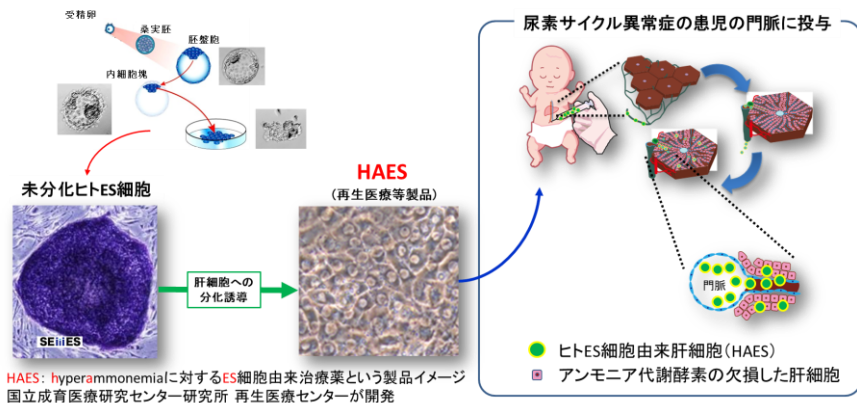
指標	要因分析(①「制度、事業内容の変更」、②「法人の努力結果」、③「外部要因」のいずれかに分類して分析すること) 同一指標で2年続けて達成度が120%以上又は80%未満の場合は、目標変更の要否についても記載すること。
先天性免疫不全症に対する遺伝子治療 (目標値:中長期目標期間中に3件以上)	<ul style="list-style-type: none"> ・②【法人の努力結果】小児難治性疾患に対する遺伝子細胞治療の開発に関わる研究を進めたが目標数値を達成できなかった。 ・【目標変更の要否】不要。数値目標については中長期計画にて定めており、第3中長期計画では「中長期目標間3件以上実施する」としている。数値目標については変更はないが遺伝子細胞治療の開発に関わる研究を進め、目標達成に向けて取り組む。
出生前遺伝学的検査 (目標値:中長期目標期間中に3,000件以上[年間500件以上])	<ul style="list-style-type: none"> ・②【法人の努力結果】臨床遺伝専門医により出生前検査の遺伝カウンセリングに取組み、検査を促進した結果。 ・【目標変更の要否】不要。数値目標については中長期計画にて定めているが第3中長期計画では出生前遺伝学的検査の数値目標を定めていない。
小児がん診療新規治療レジメン開発 (目標値:中長期目標期間中に3件以上)	<ul style="list-style-type: none"> ・②【法人の努力結果】国立がん研究センターと連携を図り、再発又は増悪した神経膠腫に対するOP-10の第1/II相臨床試験(企業治験)及び、手術不能かつ症候性の叢状神経線維腫(PN)を有する神経線維腫症1型(NF1)の日本人小児患者を対象としたセルメチニブ[選択的分裂促進因子活性化タンパク質キナーゼキナーゼ(MEK)1阻害薬]の安全性、忍容性、薬物動態及び有効性を検討する非盲検第I相試験(企業治験)を開始。 ・【目標変更の要否】不要。小児がんの臨床試験は患者リクルートに3年から5年を要し、がんという性質上、その臨床効果を判定する生存率を算出するためにはさらにそこから数年以上かかり、ひとつの臨床試験を完遂するのに10年近くかかることがある。さらにその中から国立がん研究センターと連携したものに限ると毎年のレジメン開発件数には偏りがある。
肝臓移植 (目標値:中長期目標期間中に200件以上[年間34件以上])	<ul style="list-style-type: none"> ・②【法人の努力結果】優れた手術手技・周術期管理・早期リハビリテーションに加え、移植後に重篤となりうるウイルス感染症の早期発見・感染対策・治療介入に取組み、移植を促進した結果。 ・【目標変更の要否】不要。数値目標については中長期計画にて定めており、第3中長期計画では「中長期目標間200件以上実施する」としている。国内最多の生体肝移植症例数であり、数値目標については変更はないが目標達成に向けて引き続き取り組む。
医療安全および感染対策研修会 (目標値:中長期目標期間中に年2回以上)	<ul style="list-style-type: none"> ・②【法人の努力結果】コロナ禍で密になるために集合研修は企画できず、ビデオ講習会とe-ラーニングで実施した。ビデオはストリートにアップロードし、在宅勤務の職員が院外からでも受講できるように工夫して実施。 ・【目標変更の要否】不要。数値目標については中長期計画にて定めている。第3中長期計画において数値目標は変更となっていないが目標の指標は開催件数ではなく、全職員が受講した件数としている。

Ⅲ 評定の根拠

根拠	理由
世界初のヒトES細胞由来の肝細胞のヒトへの移植。	先天性尿素サイクル異常症でヒトES細胞を用いた医師主導治験を実施した。国立成育医療研究センターで作製したヒトES細胞由来の肝細胞を使用し、生後6日の新生児へ移植、その後無事に生体肝移植を実施した。 ヒトES細胞による再生医療は日本初であり、ヒトES細胞由来の肝細胞による肝疾患への治療は世界初である (令和2年5月21日プレスリリース)。令和2年度末までに合計3例のES細胞移植、その後の肝移植を実施し、全例合併症なく元気に外来通院中である。
日本で初めて血友病Bの遺伝子治療を実施。	キムリア治療可能施設としての認定を取得し、血友病Bの遺伝子治療の企業治験承認の体制整備を整え、 2020年10月に日本で初めて血友病患者の遺伝子治療を実施。現在まで治験を含めて6例のキムリア療法を実施 した。また、他の医療機関と連携してin vivo遺伝子治療である脊髄筋萎縮症に対するゾルゲンスマ遺伝子治療のマニュアルを作成し、令和3年3月に1例目を実施した。
新型コロナウイルスと子どものストレスについて。	新型コロナウイルス感染拡大に関する子どもと家族のストレスと対処法について16シリーズのリーフレットをいち早く作成し当センターHPに掲載 した。新型コロナウイルスに関する子どものストレスに関するリーフレットを2020年4月中旬に公開し、2021年3月末までに約44万のページビューとなり、全国の自治体、教育機関、医療機関が活用している。

①世界初のヒトES細胞由来の肝細胞のヒトへの移植 (評価書60頁)

尿素サイクル異常症に対する HAES肝細胞移植の概要



2020年5月21日 報道(1例目退院後)

国内露出 約100件

- ・全主要メディア (TV、新聞、地方紙、Webなど) で報道。
- ・新聞一面、トップニュースで報道した媒体も多数。

海外露出 約130件

- ・英語、フランス語、スペイン語、ドイツ語など様々な言語で世界中で報道。
- ・菅官房長官(当時)が「研究の進展を引き続き注目していきたい」と述べたことも報道され、社会に大きな影響を及ぼした。
- ・年末には、「重大ニュース2020」(毎日新聞)、「2020年の科学技術重大ニュース」(朝日新聞)に掲載。
- ・アメリカの科学雑誌「Discover」でも、その年のES細胞に関する成果の1つとして紹介された。

ヒトES細胞由来の肝細胞移植3例実施 その後肝移植実施し合併症なく全例元気に外来通院中

	HAES-P-1	HAES-P-2	HAES-P-3
原疾患	ASS欠損症	CPS1欠損症	OTC欠損症
性別	男児	男児	男児
肝細胞移植時日齢 (1回目/2回目)	6日 / 8日	2日 / 4日	45日 / 47日
肝細胞移植時体重 (kg)	3.970	2.994	3.150
投与細胞数	2.0×10^8	1.4×10^8	1.6×10^8
投与経路	臍帯静脈	臍帯静脈	臍帯静脈
静脈管開存/塞栓術	開存/塞栓術あり	開存/塞栓術あり	閉塞後/塞栓術なし
免疫抑制剤	タクロリムス+ステロイド	プロGRAF+ステロイド	タクロリムス+ステロイド
肝細胞移植後経過	生体肝移植 (生後5か月) - 高アンモニア血症 (血液浄化療法) - 1回 (0回) - 総胆管結石 (なし)	脳死肝移植 (生後5か月) - 2回 (2回) - 肥厚性幽門狭窄症 (なし)	脳死肝移植 (生後7ヶ月) - 0回 (0回) - 特記事項なし



官房長官、ES細胞で初の移植「研究進展を注視」

2020年5月21日 15:15 [有料会員限定記事]
菅義偉官房長官は21日の記者会見で、国立成育医療研究センターによる胚性幹細胞 (ES細胞) からつくった肝細胞を移植する治験について期待感を示した。「研究の進展を引き続き注視していきたい」と述べた。



記者会見する菅官房長官(21日、首相官邸)

同センターは2019年10月、生まれつき肝臓病だった赤ちゃんにES細胞由来の肝細胞を移植した。ES細胞からつくった細胞の移植は国内初、ES細胞由来の肝細胞を肝疾患に用いた治験は世界初という。

②日本で初めて血友病Bの遺伝子治療を実施 (評価書55頁)

遺伝子細胞治療推進センター

In vivo 遺伝子治療

ベクターを直接に体内投与

2020年10月

血友病遺伝子治療を実施
順調な経過

血友病とは…

- ・血液凝固第Ⅷ因子(FVIII)または凝固第Ⅸ因子(FIX)の量的、質的異常によるX連鎖性劣性遺伝形式の先天性出血性疾患。
- ・FVIII欠乏症が血友病A, FIX欠乏症が血友病B。
- ・血友病Aの発生頻度は男子出生5,000人に1人。
- ・血友病Bは血友病Aの約5分の1。

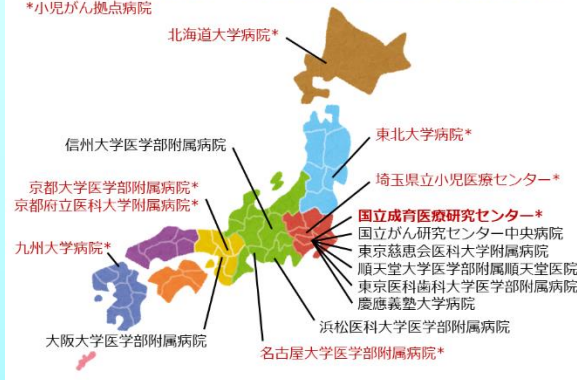
Ex vivo 遺伝子治療

体外での遺伝子操作後に投与

造血幹細胞遺伝子治療及び
CAR-T療法(キムリア)を実施

国内のキムリア®実施可能施設(小児科)

*小児がん拠点病院



国内でトップクラスの実施件数

(2020年8月~2021年3月の間に6件)

③コロナ渦におけるオンラインでのセカンドオピニオン外来 (評価書63頁)

- COVID-19の感染予防を目的に、2020年7月よりオンラインセカンドオピニオン外来を開設したところ、2020年度の9か月で利用数は42件。
- 2020年度のセカンドオピニオン総数199件のうち7月以降の167件に占めるオンラインセカンドオピニオンの割合は25%。
- オンラインセカンドオピニオンに対応したのは13診療科・部門。
- 利用者の居住地は、四国と北海道以外のすべての地方で中部地方が最多で、海外からの利用もあった。
- 通常のセカンドオピニオンと同様、公的医療保険が適用されない自費診療として運用。

診療科別・地域別内訳 (総数48件)

地域 診療科	九州/ 沖縄	中国	近畿	中部	関東	東北	海外(**)	合計
小児がん	5	2	3	14	2	4	1	31
移植外科	1			2	1			4
消化器科	1			1				2
整形外科			1				1	2
その他(*)	1	1	3	2	1	1		9
合計	8	3	7	19	4	5	2	48

*：総合診療部、循環器科、神経内科、内分泌科、胎児診療科、外科、耳鼻咽喉科、脳神経外科、母性内科が各1件

**：スイス
ポリビア

小児がんセンター医師による
実際の様子



④新型コロナウイルスと子どものストレスについて (評価書67頁)

新型コロナウイルス感染症の拡大に関する**子どもと家族のストレス反応、ストレス対処法、子どもの成育環境を担う大人が意識したい対応等**についてリーフレットを作成

→センターHP「新型コロナウイルスと子どものストレスについて」のコーナーにて公開

年間ページビュー数
約44万！！
(2020年4月～2021年3月合計)

新型コロナウイルス感染症パンデミック
による世界的危機

- 子どもと家族の**心と身体の健康の阻害**
- 子どもの**生活や成育環境の変化**
- 子どもの成育環境を担う**大人の不安や混乱**

健康・安心につながる**情報提供や心理教育**
子どものための**アドボカシー**

- こころの診療部リエゾン診療科医師・心理士ら**専門家**により作成
- 多様な読み手を想定し幅広い活用が可能



16シリーズラインナップ

ストレスへの気づき／ストレスコーピング／セルフケア／年齢別ケア
子ども向け・保護者向け・学校関係者向け など

- | | |
|---------------------------------|---------------------|
| ① ご家族向けリーフレット | ⑬ セルフアドボカシーってなあに？ |
| ② 親子でできるストレス対処法 | ⑭ ひとりじゃないよ |
| ③ 子どもとできるセルフケア | ⑮ こどものSOSに気づいていますか？ |
| ④ リラクゼーション | ⑯ みんなで力を合わせて |
| ⑤ お子さんの成長に応じたケア | 資料: ストレスってなに？ |
| ⑥ 子育て中のあなたへ | |
| ⑦ 頑張っている君たちへ 学校再開に向けてのメッセージ | |
| ⑧ 子どもと関わる大人の方へ～子どもの自律神経とストレスの話～ | |
| ⑨ 学校関係のみなさまへ 学校再開に向けて | |
| ⑩ 学校に通う君たちへ | |
| ⑪ 話してみよう！伝えてみよう！“子どもの権利”のお話 | |
| ⑫ 冬を迎える前に、ストレスコーピング | |



全国の自治体、教育機関、医療機関などがリーフレットを活用
各機関HP、SNSなどで紹介、印刷配布

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 H30年度:A R元年度:A)

I 中長期目標の内容

- ・センターが国内外の有為な人材の育成拠点となるよう、成育医療及びその研究を推進するにあたりリーダーとして活躍できる人材の育成を行うとともに、モデル的な研修及び講習の実施及び普及に努める。
- ・高度かつ専門的な医療技術に関する研修を実施するなど、モデル的な研修及び講習を実施し、普及に努める。
- ・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 指標の達成状況 (※達成度については小数点第2位を四捨五入して計算)

目標(指標に関連する項目を箇条書きで簡潔に記載すること)	指標	令和2年度		令和元年度	平成30年度	平成29年度	平成28年度	平成27年度
		実績値	達成度	達成度				
臨床研究関連講習会等開催数を年に30回以上	臨床研究関連講習会等開催数 (目標値:年に30回以上)	35回	116.7%	116.7%	200.0%	156.7%	116.7%	126.7%
小児科後期研修医採用数を毎年10人以上採用	小児科後期研修医採用数 (目標値:年に10人以上)	12人	120.0%	130.0%	130.0%	140.0%	140.0%	140.0%

・要因分析(実績値/目標値が120%以上又は80%未満)

指標	要因分析(①「制度、事業内容の変更」、②「法人の努力結果」、③「外部要因」のいずれかに分類して分析すること) 同一指標で2年続けて達成度が120%以上又は80%未満の場合は、目標変更の可否についても記載すること。
小児科後期研修医採用数を毎年10人以上採用	・③「外部要因」日本専門医機構が定めた東京都の採用枠シーリングにより、採用数が固定化されている。 ・【目標変更の可否】不要。日本専門医機構が定める採用枠は年度により異なり、当センターでの決定が困難。

III 評定の根拠

根拠	理由
リーダーとして活躍できる人材の育成	2021年1月に加藤元博小児がんゲノム診療科診療部長が東京大学小児科教授に就任。

①リーダーとして活躍できる人材の育成 (評価書75頁)

①国立成育医療研究センターでの診療・学術実績が評価され、アカデミア等に人材を供給

2015-2019年度

- ・2015年 4月: 前原佳代子胎児発育研究室長が畿央大学健康科学部健康栄養学科大学院健康科学研究科教授に就任
- ・2016年 4月: 藤原武男研究所社会医学研究部長が東京医科歯科大学国際健康推進医学分野教授に就任
- ・2017年 4月: 井上永介生物統計室長が聖マリアンナ医科大学医学教育文化部門(医療情報学)教授に就任
- ・2017年 9月: 谷垣伸治産科診療部長が杏林大学産婦人科准教授に就任(現教授)
- ・2018年 4月: 石川洋一薬剤部長が明治薬科大学衛生薬学科教授に就任
- ・2018年11月: 森臨太郎成育政策科学研究部長が国連人口基金アジア太平洋地域事務所人口高齢化と持続可能な開発に関する地域アドバイザーに就任
- ・2019年 3月: 石倉健司腎臓・リウマチ・膠原病科診療部長が北里大学小児科主任教授に就任
- ・2020年 1月: 菱木知郎腫瘍外科診療部長が千葉大学小児外科教授に就任

2020年度

- ・2021年 1月: 加藤元博小児がんゲノム診療科診療部長が東京大学小児科教授に就任

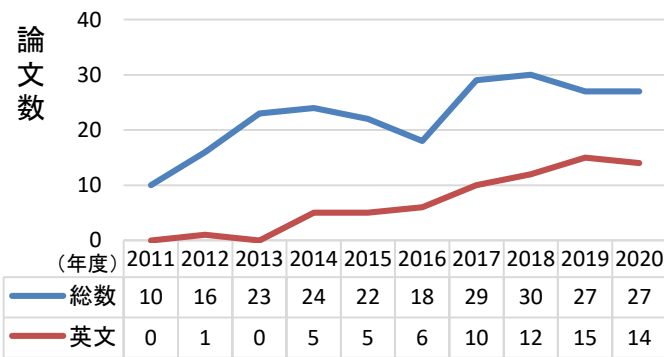
〈当センターでの主な取組〉

小児がんのゲノム診断を行ってきた。また、研究所の小児血液・腫瘍研究部や周産期病態研究部、成育遺伝研究部、社会医学研究部など多部門と連携し、小児がんの発症や臨床経過に関わる病態の解明について取り組んできた。

②病院・研究所の連携強化による、若手医療従事者の研究業績の向上

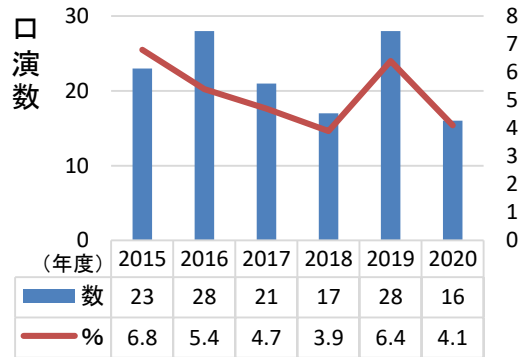
「病院・研究所間での人材交流・研究マッチング」「若手医療従事者への研究教育・OJT」「研究支援・論文執筆支援」により以下の成果をあげている

小児科専攻医 論文発表 年次推移



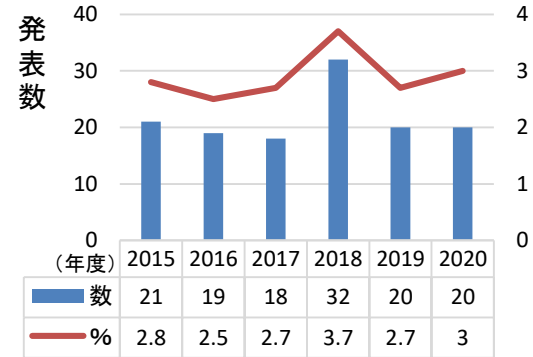
— 総数 — 英文 (※ 英文の論文数は総数の再掲値)

小児科学会 一般演題口演 推移 (%)



— 数 — % (※ %は総数に占める成育の割合)

小児科学会ポスター発表 年次推移 (%)



— 数 — % (※ %は総数に占める成育の割合)

評価項目 No. 1-5 医療政策の推進等に関する事項

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 H30年度:A R元年度:A)

I 中長期目標の内容

- ・研究、医療の均てん化等に取り組む中で明らかになった課題や我が国の医療政策の展開等のうち、特に研究開発に係る分野について、患者を含めた国民の視点に立ち、科学的見地を踏まえ、センターとして提言書を取りまとめた上で国への専門的提言を行う。
- ・医療の評価と質の向上、さらに効率的な医療の提供を実現するため、センターが担う疾患にかかる中核的な医療機関間のネットワーク化を推進し、高度かつ専門的な医療の普及を図り、医療の標準化に努める。
- ・情報発信にあたっては、国内外のセンターが担う疾患に関する知見を収集、整理及び評価し、科学的根拠に基づく予防、診断及び治療法等について、国民向け及び医療機関向けの情報提供の充実を図る。
- ・公衆衛生上重大な危害が発生し、又は発生しようとしている場合には、国の要請に応じ、迅速かつ適切な対応を行う。

II 評定の根拠

根拠	理由
大規模データベースを活用した世界初の研究で、妊婦禁忌とされた吐き気止めの「胎児リスク」は認められないことを示し、妊婦の安心に繋がった。	ドンペリドン(制吐剤)は、動物実験結果を元に妊婦禁忌となっているが妊娠判明前に、悪阻の症状に対し本剤が処方される症例がある。禁忌の薬を服用したことへの不安が生じる例が後を絶たない。これまで、本剤の十分な症例数を持った疫学研究はなかったが 妊婦禁忌薬であるドンペリドンは、有益性投与薬であるメクロプラミド同様に、先天異常のリスクを上げないことが示された。 妊婦禁忌薬と知らずに本剤を服用した女性にとって、安心して妊娠継続できる情報であり、 妊婦禁忌解除につながる可能性が出た。
コロナ禍における小児・周産期医療への貢献。	COVID-19対応病床として、一般病棟(36床)、NICU1床、小児ICU1床を転用し、専属のCOVID-19チームを立ち上げた。年度末までの入院数はCOVID-19確定例:小児59(44)例・妊婦9(4)例、COVID-19疑い例:小児825(112)例、妊婦0(3)例であった(括弧内数字は令和3年4月～6月6日)。

①妊婦禁忌とされた吐き気止めの「胎児リスク」認められず～大規模データベースを活用した世界初の研究で、妊婦の安心に繋げる～（評価書90頁）

妊婦への介入研究は困難なため、添付文書の妊婦の項は動物実験をもとに記載される。

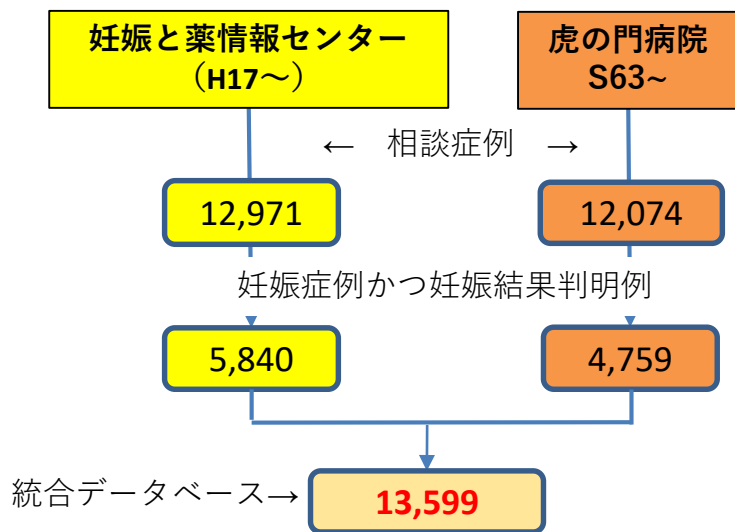
しかし、動物実験結果＝ヒトでの結果ではない。

妊婦への薬物治療は疫学研究をもとに、リスク・ベネフィットを十分に検討して行いたい。

しかし、当該分野の疫学研究（観察研究）は乏しい。

妊娠と薬外来を担う2施設（当院・虎の門病院）の症例データベースを統合・大規模データベースを作成

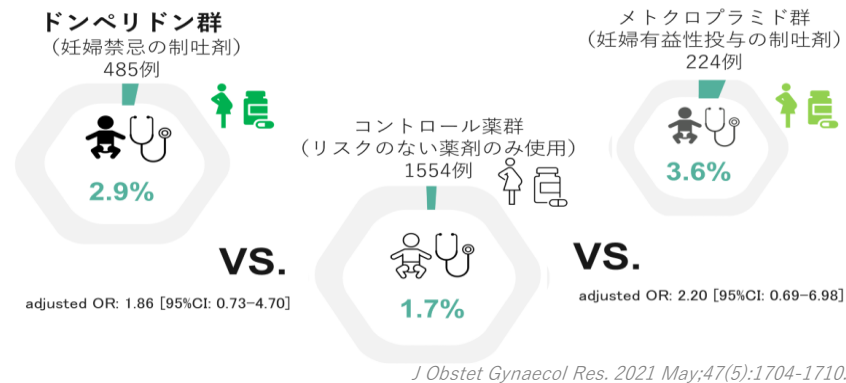
AMED研究（H29～31）
厚労省指定研究（H32～）



統合データベースを用いたエビデンスの創出

- ・ドンペリドン(制吐剤)は動物実験結果を元に**妊婦禁忌**である。
- ・**妊娠判明前に悪阻**の症状に対し本剤が処方される症例がある。
- ・禁忌の薬を服用したことへの不安が生じる例が後を絶たない。
- ・これまで本剤の十分な症例数を持った疫学研究はない。

制吐剤を妊娠初期に使用した症例における先天異常発生率の比較



禁忌薬であるドンペリドンは、有益性投与薬であるメトクロプラミド同様に、先天異常のリスクを上げないことが示された。

悪阻と知らずに本剤を服用した女性にとって、安心して**妊娠継続**できる情報となる。

添付文書の改訂に関する委託事業の対象薬とし、**妊婦禁忌解除**につながる可能性が出た。

②コロナ禍における小児・周産期医療への貢献 (評価書93頁)

小児・周産期COVID-19診療:小児医療の「最後の砦」

・COVID-19対応病棟の確保と医療体制整備

COVID-19対応病床として、一般病棟(36床)、NICU1床、小児ICU1床を転用し、専属のCOVID-19チームを立ち上げた。感染防止のための施設整備とともに4月～8月は診療制限を実施した。年度末までの入院数はCOVID-19確定例:小児59(44)例・妊婦9(4)例、COVID-19疑い例:小児825(112)例、妊婦0(3)例であった(括弧内数字は令和3年4月～6月6日)。都からの要請に全て対応。

・テレプレゼンスシステムによるオンライン面会の実施

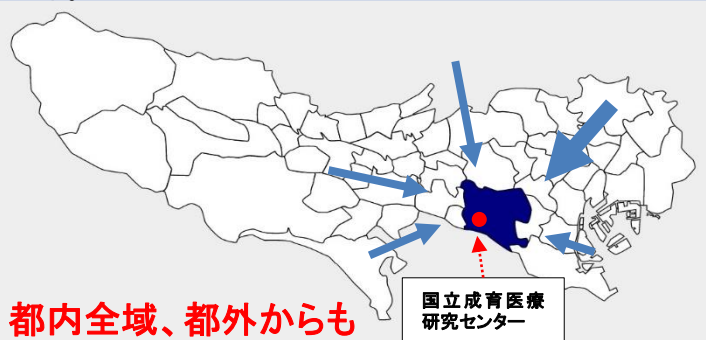
小児・周産期病院であるため入院患者面会は禁止せず、面会時間制限のみとした。両親、兄弟、祖父母との面談には、iPadや日本で最初のテレプレゼンスシステムを応用したオンライン面会を可能にした。

・非COVID-19小児重症患者の避難先としての機能

大学病院等で成人の重症・中等症COVID-19受入のため重症な非COVID-19小児の入院が困難となった場合の一時避難先としての役割を担った(CAR-T療法、重症型先天性免疫不全症管理、先天性心疾患手術、肝臓移植手術など)。

・小児救急の最後の砦

第3波流行時には、200万人以上を有する世田谷区とその周辺地域で唯一の小児発熱患者の救急受診が可能な施設となり、東京都23区内の小児3次救命救急患者の入院受入可能な医療機関は実質当センターのみであった。また、静岡県、群馬県、千葉県から小児・高校生の重症な救急患者が各県の主な病院が受入れ困難との理由で当センターに搬送されている。



情報発信

- ・子ども向けの情報発信(コロナxこども本部)
英語版でも情報を発信し、海外メディアであるCNNやABCで当センターの取組が報じられた。
- ・小児の治療薬に関する情報
- ・小児科学会の各種ガイドライン作成への貢献
- ・妊婦・授乳婦への新型コロナウイルスワクチン接種の考え方を提供

小児におけるCOVID-19の研究

- ・コロナ患者に喘息例が少ない事を報告(図1)
- ・受診控えによる小児の非COVID-19症患者が増加していることへの警鐘(図2)
- ・子どものころ:15%~30%のこどもに中等度以上のうつ症状

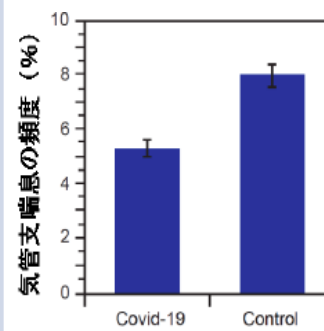


図1

J Allergy Clin Immunol. 2020 ;146:55-57

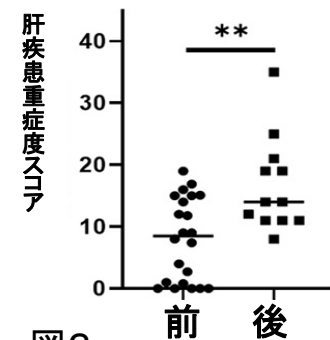
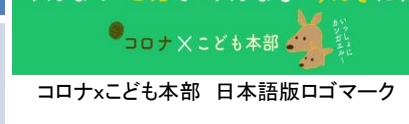


図2

Transplantation2021;105:e39-e402021.

みんなのこえで みんなをげんきに!



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 H30年度:B R元年度:B)

I 中長期目標の内容

- ・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。
- ・業務の質の向上及びガバナンスの強化を目指し、かつ、効率的な業務運営体制とするため、定期的に事務及び事業の評価を行い、役割分担の明確化及び職員の適正配置等を通じ、弾力的な組織の再編及び構築を行う。
- ・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、第1期中期目標期間の約17%から13%まで減少させる。
- ・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する。具体的には、第1期中期目標期間の34人から60人程度に増加させることを目標とする。
- ・損益計算において経常収支率100%以上を達成する。
- ・一般管理費については、平成26年度に比し、15.0%以上の削減を図る。
- ・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。

II 指標の達成状況(※達成度については小数点第2位を四捨五入して計算)

目標(指標に関連する項目を箇条書きで簡潔に記載すること)	指標	令和2年度		令和元年度	平成30年度	平成29年度	平成28年度	平成27年度
		実績値	達成度	達成度				
紹介率80%以上	紹介率 (目標値:中長期目標80%)	93.6%	117.0%	110.5%	109.8%	112.3%	113.3%	118.4%
逆紹介率40%以上	逆紹介率 (目標値:中長期目標40%)	40.9%	102.3%	127.0%	136.8%	129.8%	142.0%	105.5%
看護師離職率を13%まで減少	看護師離職率 (目標値:13%)	14.5%	62.5%	52.5%	85.0%	0%	112.5%	33.1%
専門・認定看護師数を60人に増加	専門・認定看護師数 (目標値:60人)	45人	75.0%	71.7%	73.3%	68.3%	58.3%	66.7%
経常収支率100%以上を達成	経常収支率 (目標値:100%以上)	103.9%	103.9%	101.3%	103.5%	104.8%	104.6%	95.1%

一般管理費を平成26年度に比し、15.0%以上の削減	一般管理費 (目標値:平成26年度に比し、15.0%以上の削減)	△28.9%	192.7%	165.3%	143.3%	168.0%	106.7%	4.0%
後発医薬品使用数量シェアについて数量シェアで60%以上を維持	後発医薬品使用数量シェア (目標値:数量シェアで60%以上を維持)	87.7%	146.1%	141.8%	146.0%	138.0%	126.3%	130.2%

・要因分析(実績値/目標値が120%以上又は80%未満)

指標	要因分析(①「制度、事業内容の変更」、②「法人の努力結果」、③「外部要因」のいずれかに分類して分析すること) 同一指標で2年続けて達成度が120%以上又は80%未満の場合は、目標変更の可否についても記載すること。
看護師離職率 (目標値:13%)	・②【法人の努力結果】教育担当者による定期的なヒアリングや復職支援等を行ったが、離職率が高止まりした。 ・【目標変更の可否】不要。数値目標については中長期計画にて定めている。第3中長期計画において数値目標は離職率を14.5%と設定している。
専門・認定看護師数 (目標値:60人)	・②「法人の努力結果」研究休職制度の活用や成育教育支援基金による助成を行ったが数値目標を達成できなかった。 ・【目標変更の可否】不要。数値目標については中長期計画にて定めている。第3中長期計画において数値目標は専門・認定看護師数を30人と設定している。
一般管理費 (目標値:平成26年度に比し、15.0%以上の削減)	・②【法人の努力結果】経費の縮減や見直しを図った結果。 ・【目標変更の可否】不要。第3期中長期目標では「令和2年度に比し、中長期目標期間の最終年度において、5%以上の削減を図る。」こととされ、より一層の削減目標を定めている。
後発医薬品使用数量シェア (目標値:数量シェアで60%以上を維持)	・②【法人の努力結果】後発医薬品の採用に積極的に努めた結果。 ・【目標変更の可否】第3中長期目標より「中長期目標期間を通じて数量シェアで85%以上とする」と数値目標を変更している。

①医薬品、医療材料等の経費削減 (評価書103頁)

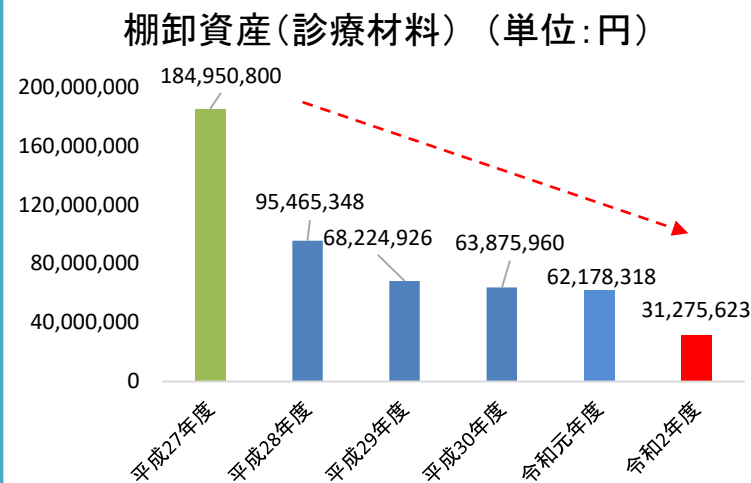
①小児疾患の治療に使用する医薬品について全国の33子ども病院(JACHRI会員施設)へ価格照会

・照会価格を基に業者と価格交渉を重ね、納入価を下げて契約できたことで**年間約163,243千円**(年間予定数量ベース)を削減

②医療材料についてベンチマークシステム導入により価格相場の高い項目について22メーカーと価格交渉

・令和2年度は**年間約30,250千円**を削減(対前年度比20,050千円増)

③棚卸資産(診療材料)の在庫縮減



②働き方改革 (評価書101頁)

①職員にとって魅力的で働きやすい職場環境の整備

・令和2年度、PICU,NICUフロアに医師事務作業補助者に加えて事務補助員2名を配置し、業務軽減。

②薬剤師を全病棟(13病棟)に配置

・医師等の負担軽減や、薬剤師の持参薬確認による服薬計画の提案など医療安全の向上に寄与。

③医師の業務軽減として医師事務作業補助者を増員

・令和2年度は3名増員して計25名配置。4月より医師事務作業補助体制加算1(25:1)の算定を開始。

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 H30年度：B R元年度：B)

I 中長期目標の内容

- ・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。
- ・成育医療に関する医療政策を牽引していく拠点としての役割を果たすため、運営費交付金以外の外部資金の積極的な導入に努める。
- ・企業等との治験連携事務局の設置や、患者レジストリの構築により、国立研究開発法人日本医療研究開発機構等からの競争的資金や企業治験等の外部資金の獲得を更に進める。

①大規模建物整備計画の作成 (評価書116頁)

①令和2年3月理事会で了承された大規模建物整備計画(工事期間:令和4年度からの5カ年計画)の準備を行った。

②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、コスト削減を図っている。



②外部医療機関からの検体検査受託の推進 (評価書117頁)

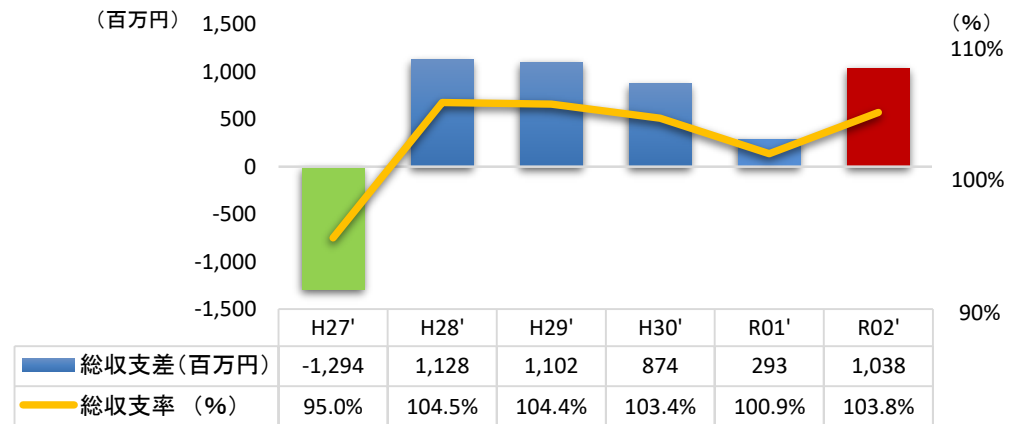
①衛生検査所の登録を行い、研究所の建物内で検体検査を受託できるように整備した(臨床検査技師等法による規制)。

②従来、研究ベースで小児がん、小児難病、感染症等の検体検査を外部医療機関から受託していたが、小児がんや小児難病の検査に関しては、臨床検査技師法上の衛生検査所(衛生検査センター)を開設(平成31年3月登録)し、**令和2年度は、外部医療機関との受託契約締結を行なった。**これらの推進は、当センターの医療・研究の向上に寄与すると期待される。

③健全な財務内容 (評価書118頁)

①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もと、運営上適切に管理している。

②令和元年度は働き方改革対応、令和2年度は新型コロナウイルス感染の流行など収支悪化要因があったが**平成28年度以降、5期連続の黒字決算**を達成した。



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 H30年度:B R元年度:C)

I 中長期目標の内容

- ・研究開発活動の信頼性の確保、科学技術の健全な発展等の観点から、研究不正など不適切事案に適切に対応するため、コンプライアンス体制を強化すること等により、内部統制の一層の充実・強化を図る。
- ・監査室による内部監査を年4回実施する。
- ・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し、3人程度に増やすことを目標とする。
- ・NC間及びセンターと独立行政法人国立病院機構の間における看護師等の人事交流を更に推進し、第1期中期目標期間の86人から、1割程度増やすことを目標とする。

II 指標の達成状況(※達成度については小数点第2位を四捨五入して計算)

目標(指標に関連する項目を簡条書きで簡潔に記載すること)	指標	令和2年度		令和元年度	平成30年度	平成29年度	平成28年度	平成27年度
		実績値	達成度	達成度				
内部監査実施回数を年4回実施	内部監査実施回数 (目標値:年4回実施)	14回	350.0%	325.0%	481.3%	350.0%	350.0%	350.0%
独立行政法人医薬品医療機器総合機構等人事交流人数を3人程度に増やす	独立行政法人医薬品医療機器総合機構等人事交流人数 (目標値:3人)	7人	233.3%	133.3%	173.9%	133.3%	66.7%	133.3%
NC間及びセンターと独立行政法人国立病院機構の間における看護師等の人事交流を95人とする	NC間及びセンターと独立行政法人国立病院機構看護師及びメディカルスタッフ (目標値:95人〔年平均15.8人〕)	28人	177.2%	189.9%	151.9%	196.2%	158.2%	179.7%

・要因分析(実績値/目標値が120%以上又は80%未満)

指標	要因分析(①「制度、事業内容の変更」、②「法人の努力結果」、③「外部要因」のいずれかに分類して分析すること)同一指標で2年続けて達成度が120%以上又は80%未満の場合は、目標変更の要否についても記載すること。
内部監査実施回数 (目標値:年4回実施)	<ul style="list-style-type: none"> ・②「法人の努力結果」外部資金による研究費等の経理に関する事項、契約に関する事項を重点事項とする内部監査計画(14項目)を策定して実施。 ・【目標変更の要否】不要。数値目標については中長期計画にて定めている。第3中長期計画において数値目標は年4回と設定しているが実績値算出の要件として会計監査指導に限る。
独立行政法人医薬品医療機器総合機構等人事交流人数 (目標値:3人)	<ul style="list-style-type: none"> ・②「法人の努力結果」出向先において、医薬品や医療機器の実用化に向けた企画力や技術力を高めることができるため、積極的に人事交流を行った。 ・【目標変更の要否】不要。出向先との調整により交流人数は各年で流動的になるため、第3中長期計画において数値目標は定めていない。
NC間及びセンターと独立行政法人国立病院機構看護師及びメディカルスタッフ (目標値:95人[年平均15.8人])	<ul style="list-style-type: none"> ・②「法人の努力結果」医療の質の向上及び人材の育成、キャリアアップのために、積極的に人事交流を行った。 ・【目標変更の要否】不要。出向先との調整により交流人数は各年で流動的になるため、第3中長期計画において数値目標は定めていない。

Ⅲ 評定の根拠

根拠	理由
センターホームページのコンテンツ「新型コロナウイルス子どものストレスについて」	センターホームページにおいてコロナ禍におけるストレス対処法等健康・安心につながる情報を提供。 年間ページビュー数は年間44万件 となり、 多くの自治体・教育機関が掲載されたリーフレットを活用 しており、心理教育等に大きく貢献。
センターホームページのコンテンツ「コロナ×こどもアンケートについて」	センターホームページにおいてコロナ禍における生活と健康に関する調査をもとにした結果や相談窓口等を公開しており、コロナ禍での問題の早期発見や予防・対策に貢献。アンケート結果に基づく提言は日本小児科学会の指針に引用される等、社会への波及もあった。また、 英語版でも情報を発信し、海外メディアであるCNNやABCで当センターの取組が報じられた。

① ハラスメント対策等の充実 (評価書130頁)

- ①コンプライアンス室の活動、及びパワーハラスメントに関するアンケート調査の実施を通じて、職場環境の改善に繋げるよう努めている。
 - ・平成22年度当初から設置しているコンプライアンス室において、様々な法的問題に関するアドバイス、**コンプライアンスに関する相談対応、情報発信を実施した。**
 - ・令和2年3月から4月にかけて「職場環境・パワーハラスメントに関するアンケート調査」を全職員対象に実施し、その結果を踏まえた**パワーハラスメント防止を呼びかけるポスターを作成し、院内に掲示した。**
- ②患者・家族からの暴行・迷惑行為等への対応・患者・家族からの暴行・暴言・迷惑行為等に適切に対応するため、**暴力・迷惑行為等を許さないことを訴えるポスターを作成し、院内に掲示するとともに、警察OBの雇用し、配置した。**



② 広報の推進 (評価書131頁)

外部から広報専門家を2名採用し、令和元年4月1日に新設した広報企画室において広報体制を大幅に強化し、ホームページ、ソーシャルメディアの迅速・適時の更新や研究成果をわかりやすく解説したプレスリリース作成など、量・質ともに充実した。

- ①成育医療の推進に寄与する臨床および研究に関する**プレスリリース(メディア向け)を39件(前年度19件)配信。メディア露出数は1,441件(前年度772件)【約2倍】**
- ②総合的なセンターのパンフレット2021年版(日本語・英語併記)を作成。
- ③広報誌は年5回制作(各医療機関およそ3,200件)。
- ④**【ホームページ】「新着情報」の更新回数は153件(前年度96件)【約1.6倍】**。
 ※コロナ×こども本部調査ダイジェスト版を英文でも掲載し多くの海外メディアで取り上げられた。
 ※「新型コロナウイルスと子どものストレスについて」は年間ページレビュー数は44万件となった。
- ⑤**【ソーシャルメディア】フェイスブック、ツイッター、ラインで、当センターの取り組み、新着情報、一般の方への有益な情報(災害対策マニュアル、感染症予防策など)、寄付のお願いなどの情報提供。**



令和2年度財務状況

【貸借対照表：令和3年3月31日】

(単位：億円)

資産の部		負債の部	
資産	589.0	負債	189.8
流動資産	115.3	流動負債	67.4
固定資産	473.7	固定負債	122.3
		純資産の部	399.2
		純資産	399.2
資産合計	589.0	負債純資産合計	589.0

※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。

【損益計算書：令和2年度】

(単位：億円)

勘定科目	金額	勘定科目	金額
経常費用	271.7	経常収益	282.3
業務費用	270.8	業務収益	221.2
給与費	135.6	運営費交付金収益	31.2
材料費	61.7	補助金等収益	19.1
委託費	33.9	その他	10.8
減価償却費	15.0		
その他	24.6		
財務費用	0.4		
その他経常費用	0.5		
臨時損失	0.4	臨時利益	0.1
当期純利益	10.4		
経常収支率	103.9	総収支率	103.8

※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（CF）計算書：令和2年度】

(単位：億円)

区分	金額
I 業務活動によるCF	26.3
支出	△ 248.9
収入	275.2
II 投資活動によるCF	△ 15.4
支出	△ 28.7
収入	13.2
III 財務活動によるCF	5.5
支出	△ 11.1
収入	16.6
IV 資金増加額	16.3
V 資金期首残高	46.1
VI 資金期末残高	62.4

※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。

財務状況

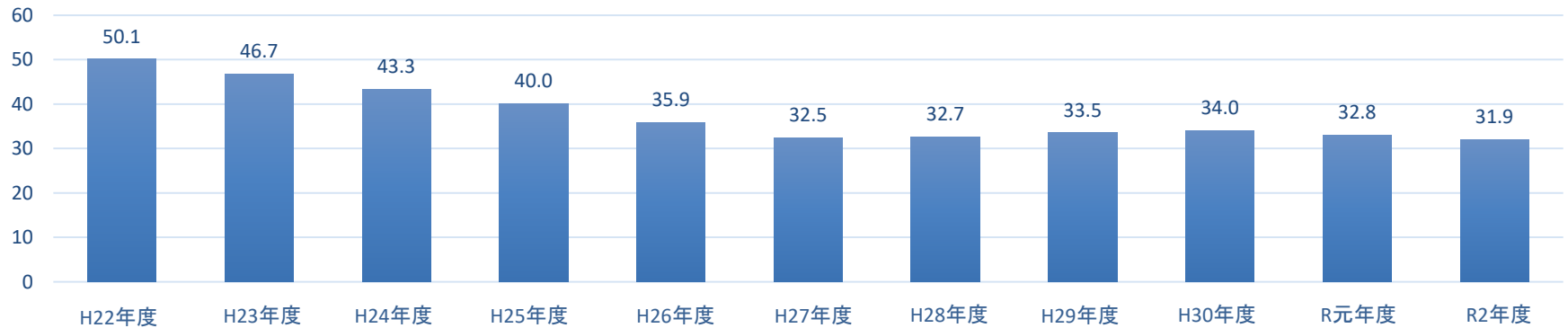
【損益計算書比較】

(単位：億円)

区分	H27'決算額	H28'決算額	H29'決算額	H30'決算額	R元'決算額 (A)	R2'決算額 (B)	差額 (B)-(A)
経常収益	248.4	260.9	262.7	268.5	272.0	282.3	10.3
経常費用	261.3	249.6	250.7	259.4	268.5	271.7	3.2
臨時利益	0	0	0.1	0.9	43.7	0.1	△43.6
臨時損失	0.1	0.1	1.0	1.3	44.3	0.4	△43.9
経常収支差	△12.9	11.4	12.0	9.1	3.5	10.6	7.1
総収支差	△12.9	11.3	11.0	8.7	2.9	10.4	7.5

【参考：運営費交付金の推移】

(単位：億円)



※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。