

独立行政法人医薬基盤研究所の  
中期目標期間の業務実績の最終評価結果

平成22年8月27日

厚生労働省独立行政法人評価委員会

## 1. 中期目標期間（平成17年4月～平成22年3月）の業務実績について

### （1）評価の視点

独立行政法人医薬基盤研究所は、厚生労働省所管の施設等機関である国立医薬品食品衛生研究所及び国立感染症研究所並びに独立行政法人医薬品医療機器総合機構の組織の一部を統合して、平成17年4月に新たな独立行政法人として発足した。当該研究所の設立は、国会等での議論も踏まえて医薬品等に対する規制と振興の分離を図りつつ、様々な組織に分かれていた創薬支援に関わる部門を統合するとともに、独立行政法人という柔軟な組織形態を活かして産学官連携を推進しようとするものである。

当該研究所の目的は、基盤的技術研究（医薬品等の開発に資する共通的技术の開発）、生物資源研究（研究に必要な生物資源の供給及び研究開発）、研究開発振興（研究の委託、資金の提供、成果の普及）の3事業を行うことにより、製薬企業や大学等における創薬研究を支援し、最新の生命科学の成果や最先端の技術を活用した画期的な医薬品等の研究開発を促進することである。

当該研究所の業績評価に当たっては、統合された組織としていわゆる統合効果も発揮しつつ、こうした設立経緯や設立目的などに基づき、同研究所が提供する基盤技術、生物資源、研究資金が、製薬企業や大学などにとって有効であり、中長期的に医薬品等の研究開発に役立つものとなっているかという観点から評価を行うものとした。

本評価は、平成17年4月に厚生労働大臣が定めた中期目標（平成17年度～平成21年度）全体の業務実績についての最終評価を行うものである。

当委員会では「厚生労働省所管独立行政法人の業務実績に関する評価の基準」等に基づき、平成20年度までの業務実績の評価において示した課題等のほか、総務省政策評価・独立行政法人評価委員会から示された「独立行政法人の業務の実績に関する評価の視点」（平成21年3月30日同委員会）やいわゆる2次意見等も踏まえ、最終評価を実施した。

### （2）中期目標期間の業務実績全般の評価

当委員会においては、当該研究所が独立行政法人として発足して以来、業務により得られた成果が「医薬品技術及び医療機器技術等に関し、医薬品及び医療機器等並びに薬用植物その他の生物資源の開発に資することとなる共通的研究、民間等において行われる研究及び開発の振興等の業務を行うことにより、医薬品技術及び医療機器技術等の向上のための基盤の整備を図り、もって国民保健の向上に資することを目的とする」（医薬基盤研究所法第3条）という同研究所の設立目的に照らし、どの程度寄与するものであったか、効率性、有効性等の観点から、適正に業務を実施したか等の視点に立って評価を行ってきたところであるが、中期目標期間全般については、次のとおり、適正に業務を実施してきたと評価できる。

基盤的技術研究については、創薬に繋がる研究を積極的に進めており、画期

的な成果を出している。幾つかの研究成果は、企業に引き継がれて実用化に向けた研究が進められている。例えば、水痘ウイルス、ムンプスウイルスに効果を有する多価ワクチンを開発したこと、世界に類を見ない大規模・高品質の毒性学的遺伝子発現データベースを構築したこと、iPS細胞から最も難しいとされる肝細胞への高効率な分化誘導に成功したこと、自己免疫疾患治療薬開発の基盤となる抗体プロテオミクス技術を確立したことなどは、高く評価できる。

生物資源研究については、培養細胞等の高品質な生物資源や薬用植物、医科学研究のための霊長類といった当該研究所独自の生物資源を扱っており、これらの収集・保存・安定的な供給を進めていることは、創薬に向けた研究にとっては不可欠であり、評価できる。生物資源の安定的な供給は、民間では採算が合わずに難しい分野であり、独立行政法人が柔軟な対応をしながら公的な役割を持って進めていくことが極めて重要である。例えば、カニクイザルを用いて、慢性C型肝炎やデング熱のモデル動物の開発に成功したことなどは高く評価できる。

研究開発振興については、プログラムディレクター（PD）やプログラムオフィサー（PO）を積極的に活用して、社会的なニーズや行政課題に合った的確な研究課題を設定し、適切な研究プロジェクトを採択してきた。また、資金配分のみならず、専門的な見地から研究の進捗管理も的確に行っており、高く評価できる。

とりわけ、当該研究所は、京都大学・山中伸弥教授の研究に対してはヒトiPS細胞樹立以前の研究の萌芽期から、他の機関に先んじて研究費を配分して本格的にサポートしており、結果として、世界の研究を一段と加速させたことは、特筆に値する成果である。

研究は年々進んでいくものであり、設立から日も浅い当該研究所が毎年様々な研究の成果をあげてきたことは、高く評価できる。

なお、中期目標に沿った具体的な評価結果の概要については、2. のとおりである。また、個別項目に関する評価資料については、別紙として添付した。

## 2. 具体的な評価内容

### (1) 業務運営の効率化に関する措置について

機動的かつ効率的な業務運営に関しては、理事長、理事、監事、各部長、センター長等で構成する幹部会（平成17年度～）や将来構想検討会（平成17年度～）、理事長、基盤的研究部、生物資源研究部等の各リーダーで構成されるリーダー連絡会（平成17年度～）を活用し、理事長の経営判断が迅速に業務運営に反映できる体制を作ったこと、理事長のトップマネジメントによる迅速な方針決定の下に適切な業務運営が行われ、多くの課題に研究所が一体となって取り組んでいること、プロジェクトチーム制による機動的な研究体制の確保と人員配置が行われたこと、テレビ会議システムを導入して地理的に離れている大阪本所と筑波の霊長類医科学研究センター、薬用植物資源研究センターとの意思疎通がより円滑に行われるように努め、統合した独

立行政法人としての機能を高めたことは評価できる。また、運営評議会、基盤的研究等外部評価委員会、研究振興業務関連委員会、研究倫理審査委員会により外部有識者の意見を聴くことにより、透明性を確保しつつ公正な判断ができる仕組みとしたことは評価できる。

業務運営の効率化に伴う経費削減等に関しては、一般管理費、事業費とも目標を大幅に上回る削減実績をあげていること、総人件費改革への取り組みについても目標を大きく上回る削減を達成していること、利益相反に関する取り組みも着実に進展していることから評価できる。また、これらの効率化を進める一方で、ワクチン開発研究機関協議会の設立、公的研究費の不正使用等の防止への取り組み、利益相反に関する取り組みなど社会的・政策的要請に合った対応がなされていることは評価できる。さらに、政府全体で革新的技術開発の阻害要因を克服するための試みとして取り組んでいるスーパー特区（先端医療開発特区）において、「ヒト iPS 細胞を用いた新規 in vitro 毒性評価系計の構築」及び「次世代・感染症ワクチン・イノベーションプロジェクト」の2課題が採択され、研究成果をあげていることは評価できる。

以上のように、中期目標・中期計画を上回る十分な成果をあげていると評価する。

## (2) 国民に対して提供するサービスその他の業務の質の向上に関する措置について

### A 全体的事項

戦略的事業展開、外部評価については、並々ならぬ努力により研究者一人当たりの競争的研究資金の獲得金額が、平成19年度、平成20年度の2年連続で全研究開発型独法の中で一位となったこと（総合科学技術会議調査結果（平成20年度、平成21年度調査分）、年々、所内の情報交換と部門間の連携強化が図られ、特に基盤的研究部と生物資源研究部との連携強化が図られ、両部門間の共同研究件数が大幅に増加していること、外部研究評価を活用した研究費の配分など戦略的な事業運営を行っていること、医薬品安全性予測のための毒性学的ゲノム研究の分野で主要製薬企業との共同研究について内閣府の産学官連携功労者表彰（日本学術会議会長賞）を受賞していること、スーパー特区で採択された2研究課題が着実に進展していること、難病研究資源バンクで中心的な役割を果たしていることなどは、評価できる。

成果の普及については、この4年間の努力の結果、①査読付き論文発表数が中期計画を大きく上回り（平成17年度68報、18年度87報、19年度98報、20年度127報、21年度138報）、また、質的にも高い水準にあること、②ホームページ・セミナー・研究所一般公開の開催や企画の充実により、研究成果の一般の人々への公開に努めていること、③研究成果の活用促進を図っていること、④特許出願数が中期計画を大きく上回っていること、⑤コンプライアンス委員会を設置して内部統制の強化を図っていること等から、数値的にも内容的にも評価できる。

外部研究者との交流、共同研究の促進、施設及び設備の共用については、民間企業等との共同研究や受託研究が順調に増加・進展していること、連携大学院の推進に積極的に取り組んでいること、共同利用施設の有効利用に努め、NMR装置の利用等にも実績をあげていることから評価できる。

## B 個別的事項

### ①基盤的技術研究

基盤的技術研究については、企業や大学等のニーズを踏まえつつ、医薬品等の開発に資する共通的技術の開発が行われ、着実な成果が得られている。

医薬品安全性予測のための毒性学的ゲノム研究については、産学官連携活動を推進し、世界に類を見ない大規模・高品質のトキシコゲノミクスデータベース(TGP-Database)を拡充し、有用な毒性予測システムを確立したこと、TGP-Database を用いて、ヒトへの臨床応用が可能な安全性バイオマーカーの発見に成功したことなど、複数の大きな成果をあげたことは大いに評価できる。今後、この研究が臨床応用の段階でどんな成果をあげるのか、期待を持って見守りたい。なお、本研究については産学官連携活動の結果、橋渡し研究として目覚ましい成果をあげたことが評価され、内閣府の産学官連携功労者表彰（日本学術会議会長賞）を受賞しており、特筆に値する。

ヒト試料を用いた疾患関連たんぱく質解析研究及び疾患関連たんぱく質の有効活用のための基盤技術開発については、ヒト試料を用いた疾患関連たんぱく質の解析研究において、リン酸化たんぱく質や細胞膜たんぱく質のプロテオミクス解析技術を確立したほか、疾患バイオマーカーとなり得る新規たんぱく質の特定を推進したことは、高く評価できる。また、疾患関連たんぱく質の有効活用のための基盤技術開発において、独自に開発した機能性たんぱく質創製技術を用いて創製したレセプターサブタイプ特異的な TNF アンタゴニスト変異体が、有効な治療法のない難病の一種である多発性硬化症モデルに対して効果を発揮することを見出したことなど、複数の大きな成果をあげたことは大いに評価できる。

国民にとって関心の高い新世代ワクチン・抗ウイルス剤開発の基盤研究の分野では、ヒトヘルペスウイルス感染機構に関する分子解析に成功したこと、水痘ウイルス及びムンプスウイルスに効果を有する多価ワクチンを開発したこと、インフルエンザワクチン経鼻摂取による防御免疫機構を解明したことなど、複数の大きな成果をあげたことは大いに評価できる。今後、広く医療の分野で実用に繋がることを期待する。

遺伝子導入技術の開発とその応用については、遺伝子発現効率を高めるため、外来ペプチド挿入機能や miRNA による遺伝子発現制御機能を付与した機能性に優れたアデノウイルス (Ad) ベクターの開発に成功したこと、VA-RNA 欠損 Ad ベクターの作製により副作用の少ない Ad ベクターの開発

を可能としたこと、幹細胞からの高効率な肝細胞への分化誘導法の開発に成功したこと、Ad ベクター投与後の自然免疫誘導メカニズムの解明に成功したことなど、複数の大きな成果をあげたことは評価できる。臨床応用へ向けた貴重な萌芽が随所にみられ、今後、さらに画期的な成果を上げるよう研究の発展を期待する。

また、政府全体で革新的技術開発の阻害要因を克服するための試みとして取り組んでいるスーパー特区（先端医療開発特区）において、「ヒト iPS 細胞を用いた新規 *in vitro* 毒性評価系の構築」及び「次世代・感染症ワクチン・イノベーションプロジェクト」の2課題が採択され、幹細胞からの肝細胞への高効率分化誘導などの研究成果もあげていることは評価できる。

その他の研究プロジェクトについても、様々な研究成果が得られ、論文・学会発表に積極的に取り組んでいるとともに、民間企業との共同研究が行われていることも高く評価する。

以上のように、中期目標・中期計画に照らし、目覚ましい成果をあげていると評価する。

## ②生物資源研究

生物資源研究については、医薬品等の開発に不可欠な生物資源の収集・保存・品質管理・供給等が着実に実施されるとともに、これらの業務に不可欠な研究開発や新たな生物資源の開発等が適切に実施されている。

遺伝子、培養細胞、実験用小動物については、資源の収集・供給、疾患実験動物の系統維持、凍結胚保存、カニクイザル統合データベースの整備などに関し、中期計画の数値目標を上回る開発、収集件数を達成していることは評価できる。また、ウイルス汚染検査を行った培養細胞の分譲に係る体制を整備するなど、品質管理が適切に行われていることは評価できる。国の独立行政法人という特徴を生かし、高水準の生物資源供給による研究開発支援という他の研究者に有用な事業を積極的に展開し、当該研究所に期待される役割を中期計画を上回って着実に果たしていることは評価できる。さらに、生物資源ごとにデータベースを構築するとともに、ホームページを通じた情報提供、各種検索機能の付加、メールマガジンの発行など、利用者の利便性向上に努めている点を評価する。遺伝子バンクを難病研究資源バンクに改めたことは適切な判断である。

薬用植物については、我が国唯一の総合的薬用植物研究センターとして、薬用植物等の収集、保存、品質管理、研究者への提供を積極的に行うとともに、関連する技術や評価について興味深く実践的な研究を進めていること、生育・栽培情報、植物情報、生薬情報の相互参照が可能となるなどの本邦で唯一の特徴を有する薬用植物統合データベースを整備し公開したこと、シャクヤク、カンゾウ、ハトムギなど様々な新品種を開発し、種苗法に基づく登録申請を行っていること、資源ナショナリズムが高まる中で外国との密接な交流を図りながら、我が国の薬用植物研究において中心的な

役割を果たしていることなどは評価できる。今後の薬用植物資源研究センターの活動を期待する。

霊長類については、我が国唯一の霊長類医科学研究センターとして、**SPF(Specific-Pathogen-Free)**サルなどの医科学研究用霊長類リソースの開発、収集、維持、品質管理、供給や研究で中期計画を大きく上回る成果を上げたこと、慢性C型肝炎やデング熱のモデル動物の開発に成功したほか、拡張型心筋症モデル動物を用いた早期診断基準の確立など、研究面で著しい成果を上げていること、カニクイザルES細胞を用いた神経系細胞への分化機構を解明したこと、風疹ワクチンの安全性評価モデルを確立したこと、全てカニクイザル遺伝子を用いたiPS細胞樹立に成功したことなどは評価できる。なお、霊長類医科学研究センターでのカニクイザル繁殖事業は重要であり、我が国唯一の医学実験用霊長類センターとしてよく機能しており、評価できる。

以上のように、中期目標・中期計画を上回る十分な成果をあげていると評価する。

### ③研究開発振興

研究開発振興については、新規プロジェクトの採択に当たっては、社会還元の可能性を考慮した医薬品等の開発を行うため、アンケート調査も実施しながら、評価項目及び評価ウエイトの見直しや募集テーマに応じた評価項目の設定を行うとともに、PD、POを積極的に活用した案件採択と研究の進捗のフォローを行うなど、より適切な研究開発振興を行うための工夫がなされており、こうした点から評価できる。また、前述のとおり、基礎研究推進事業により、京都大学・山中伸弥教授のヒトiPS細胞樹立がなされたことは、特筆に値する。

国民の治療上の要請に即した研究開発の振興による国民保健の向上については、基礎研究推進事業では有望案件の発掘、社会的要請に基づく案件の採択、より適切な評価を行うための工夫がなされ、実用化に至った成果（次世代型呼吸循環補助装置）も出ていること、希少疾病用医薬品等開発振興事業では希少・難治性疾患の治療薬等が着実に製品化され、患者の治療に活用されていることは評価できる。特に、希少疾病用医薬品等開発振興事業については注目すべきであり、当該研究所の事業としてさらに充実強化されることが望ましい。実用化研究支援事業では、収益が得られた案件が確保されたことから、繰越欠損金の解消に向け、引き続き収益案件が得られるよう指導を行う必要がある。また、繰越欠損金に関する計画策定委員会を開催し、その解消に向けた取り組みを進めていることは、評価できるが、今後とも委託先企業等への指導を継続していく必要がある。

知的財産の創出及び製品化の促進については、プログラムオフィサー制度や外部評価者を積極的に活用することにより指導・助言機能の強化や審査・評価の効果を高めていること、特許出願数も大幅に増加していること

は、評価できる。

利用しやすい資金の提供については、公募時期の早期化を図り、約3ヶ月間早期化するとともに、全国7カ所で公募説明会の開催を行い、また、中期目標期間前に比べて採択決定までの審査期間を大幅に短縮したこと(0.76ヶ月(約23日)短縮)、また、採択に当たっては、前年度中に審査を終え、年度当初から研究に着手できる仕組みを取り入れたこと、審査の透明性を高めるために応募者全員に対して審査結果等を通知したことなどは評価できる。

承継業務の適正な実施については、5法人の清算の方針を決定するなど、承継業務の適正処理に向けての一連の措置が講じられていること、繰越欠損金に関する計画策定委員会を開催し、その解消に向けた取り組みを進めていることから、評価できる。今後とも、繰越欠損金の減少に向けて努力されたい。

以上のように、中期目標・中期計画を上回る十分な成果をあげていると評価する。

### (3) 財務内容の改善等について

財務内容の改善に関する事項については、中期目標・中期計画に基づいて適正に実施されており、各年度における予算を踏まえ、一層の経費削減策を実施してきた結果、最終年度の平成21年度は、一般管理費及び事業費ともに中期目標の削減目標を大幅に上回って削減(研究開発振興業務に係る一般管理費は32.2%削減(目標は15%程度)、その他の一般管理費は15.1%削減(目標は12%程度)、研究開発振興業務に係る事業費は80.7%削減(目標は5%程度。削減には、削減対象除外経費への振替えを含む。)、その他の事業費は11.8%削減(目標は4%程度))している。

科学研究費の獲得金額については、研究者一人当たりの競争的研究資金の獲得金額が全研究開発型独法の中で一位となっており、全体として中期計画を上回る成果を達成したと評価できる。

人事に関する事項については、透明性の確保、業績に基づく人事評価の実施、各種セミナー・研究発表会の積極的な実施などが適切に行われていること、セキュリティの確保が適切に図られていること、施設・設備の整備について中期計画どおりに適切に行われていることは、いずれも評価できる。

以上のように、中期目標、中期計画に沿った成果をあげていると評価する。