

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暫定評価結果

平成26年8月26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22年4月～平成26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り、また、平成25年度から新たに創薬支援業務（アカデミア等の優れた基礎研究の成果の実用化支援）を開始した。

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等に基づき、当該研究所が提供する基盤技術、生物資源、研究資金が、製薬企業や大学等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22年3月に厚生労働大臣が定めた中期目標（平成22年度～平成26年度）全体の業務実績についての評価を行うものであり、評価結果を次期中期目標等に反映させる観点から、中期目標期間の最終年度に暫定的に評価を実施するものである。

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25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）も踏まえ、暫定評価を実施した。

（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等技術に関し、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な研究、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等技術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」（独立行政法人医薬基盤研究所法第3条）という当該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、適正にしかも高い水準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、画期的な成果が得られている。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。特に、大規模トキシコゲノムクスデータベースを活用した新規安全性バイオマーカーを開発したこと、世界初のヒト iPS 細胞から分化誘導した肝臓細胞の製品化を行ったことは、内閣府主催の産学官連携功労者表彰において、それぞれ日本学術会議会長賞と厚生労働大臣賞を受賞していること等から、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。また、世界初の薬用植物（カンゾウ）の人工水耕栽培に成功したことは基盤的技術研究と同じく内閣府主催の産学官連携功労者表彰において厚生労働大臣賞を受賞する等優れた研究成果が得られていること等から、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適確に行っていること等から、評価できる。

創薬支援については、創薬支援の枠組みを構築するとともに、多面的で実践的な目利き評価、助言を実施し、実用化の可能性が高い創薬シーズの選択・支援が適切に行われていること等から、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。

2. 具体的な評価内容

(1) 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事項について

A 全体的事項

① 戦略的事業展開

社会的ニーズ及び厚生労働省の政策課題を踏まえた戦略的事業展開については、大規模トキシコゲノムクスデータベースを活用した新規安全性バイオマーカーの開発、薬用植物の人工水耕栽培及びヒト iPS 細胞から分化誘導した肝臓細胞の製品化について、内閣府の産学官連携功労者表彰を3年連続で受賞していること、外部研究評価を活用した研究費の配分等戦略的な事業運

営を行っていること等から、高く評価できる。また、創薬支援戦略室の事業については今後期待したい。

研究成果の普及及びその促進については、査読付き論文発表数が各年度とも中期計画を上回り（平成22年度135報、平成23年度115報、平成24年度102報、平成25年度106報）、また、インパクトファクター2以上のものが各年度とも6割以上と、質的にも高い水準にあること、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、研究成果の活用促進を図っていること、特許出願数が中期計画における目標を大きく上回っていること等から、数値的にも内容的にも高く評価できる。

外部研究者との交流と共同研究の促進の推進については、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等から、評価できる。

研究基盤・研究環境の整備と研究者の育成については、年々、所内の情報交換と部門間の連携強化が図られていること、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ていること、両部門間の共同研究件数が大幅に増加していること等から、評価できる。

② 適切な事業運営に向けた取り組み

コンプライアンス、倫理の保持等、無駄な支出の削減・業務効率化の体制整備については、研究活動の不正行為への対応のため調査委員会の設置等、内部統制の整備を行っていること、アイデアボックス、人事評価の活用等を通じて取り組みを進めていること等から、評価できる。

外部有識者による評価の実施・反映、情報公開の促進については、医薬基盤研究所運営評議会を公開で開催していること、外部の専門家による研究評価を医薬基盤研究所運営評議会と合わせて2回実施していること、基礎研究推進事業、実用化研究支援事業及び承継事業についても外部の専門家による評価を実施していること、希少疾病治験ウェブの充実を図っていること、内部監査や外部監査についてホームページで公開していること等から、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。

(ア) 次世代ワクチンの研究開発

国民にとって関心の高い次世代ワクチンの研究開発の分野については、核酸アジュバントを用いたマラリアワクチンの医師主導治験を実施するま

で進んでいること、DDS 機能を付加した第 2 世代の核酸アジュバントの開発に成功する等複数の大きな成果をあげたこと等から、高く評価できる。

(イ) 医薬品等の毒性等評価系構築に向けた基盤的研究

医薬品等の毒性等評価系構築に向けた基盤的研究の分野では、ヒト iPS 細胞から肝臓細胞への高効率分化誘導技術を構築し、世界初のヒト iPS 細胞由来の肝臓細胞の製品化に成功し、内閣府主催の産学官連携功労者表彰（厚生労働大臣賞）を受賞したこと等から、高く評価できる。

(ウ) 難病治療等に関する基盤的研究

難病治療等に関する基盤的研究の分野では、難治性がん克服が期待されるサイトカインシグナル伝達阻害分子を用いた新規抗がん剤等の開発が P M D A 薬事戦略相談まで進む等研究の進捗が見られること等から、高く評価できる。

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から、高く評価できる。

以上のように、中期目標・中期計画に対して、目覚ましい成果をあげていると評価できる。

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。

難病資源、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、凍結胚保存等に関し、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等から、評価できる。また、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から、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等、利用者の利便性向上に努めていることから、評価できる。

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、世界初のカンゾウの人工水耕栽培に成功し内閣府主催の産学官連携功労者表彰（厚生労働大臣賞）を受賞したこと、薬用植物に関連する各種情報及び含油成分等の詳細情報を網羅的に閲覧できる薬用植物総合情報データベースの構築、公開及び拡充を行ったこと等から高く評価できる。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)サル等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、安全性及び有効性の高い結核ワクチンとして実用化が期待されているヒトパラインフルエンザ2型ウイルスを用いた粘膜免疫誘導型結核ワクチンを作製し、民間の研究所や製薬企業とパートナーシップを締結して実用化を目指していること等から、高く評価できる。また、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適切に機能しており、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できる。

③研究開発振興

基礎研究推進事業については、新規公募テーマの設定に当たって、国民の治療ニーズ、国家政策上の重要性及び医薬品等開発トレンドを考慮するため厚生労働省や製薬企業等との連携を図っていること、採択に当たっては、真に優れた新規研究プロジェクトの採択を行うため、創薬等研究開発に深い経験と知見を有するPD、PO及び外部有識者を積極的に活用し、適切な評価体制を強化したこと、継続研究プロジェクトのフォローについては、PD・POによる適切な指導・助言及び研究成果の積極的な発信を行う等、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、その結果、実用化が見込まれる研究プロジェクトの創出及び論文数の中期計画当初年度からの増加等、医薬品・医療機器の実用化に向けた成果が創出されていること等から、評価できる。

希少疾病用医薬品等開発振興事業については、PD・PO制度を活用し、適切な指導・助言を行うことにより、希少・難治性疾患に対する医薬品及び医療機器が着実に製品化され、患者の治療に活用されており、国民保健の向上に大きく寄与していること、極めて患者数の少ないウルトラオーファンに対する開発支援を充実強化していること等から、高く評価できる。希少疾病用医薬品及び希少疾病用医療機器の開発支援については、引き続き強化することを期待する。

実用化研究支援事業では、承認取得1件を含め、事業者に収益が得られた案件が確保されたこと、承継事業については、出資法人の成果の導出先企業において上市されたものがあり、出資法人に収益が得られたこと等、PD・PO制度を活用し適切な指導・助言を行うことにより中期目標・中期計画を上回る十分な成果をあげていること等から、評価できる。また、両事業に係る繰越欠損金について、解消計画を策定し、その解消に向けた取り組みを進めており、今後とも、繰越欠損金の減少に向けて努力するこ

とを期待する。

④創薬支援

創薬支援については、有望創薬シーズの選定に当たっての評価基準を策定する等、有望なシーズの情報収集・調査や評価・支援を行う創薬シーズの選定を行うための体制が確立されていること、創薬シーズの支援内容を承認するために独立行政法人理化学研究所、独立行政法人産業技術総合研究所とともに創薬支援ネットワーク運営会議を設置する等、創薬支援ネットワークの連携体制について整備されていること、選定された創薬シーズ（支援課題）については、応用研究から非臨床試験を中心にマネジメントや技術面を含めた助言を行う等、多面的で実践的な目利き評価、指導、助言等が適切に行われていること等から、高く評価できる。

(2) 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、理事長特任補佐、各部長、センター長等で構成する幹部会や、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、研究所の「理念」と「使命」を制定したこと、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及び創薬支援戦略室の東日本統括部と西日本統括部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等から、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とうから、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挙げていること、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等から、評価できる。

(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いる。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、年度によっては、想定外の事業を実施するために決算額が予算額を上回る年度もあったものの、一般競争入札の拡大等による調達コストの削減等を行うことにより、全体として中期計画の節減目標を達成するよう期待する。また、科学研究費の獲得については、政府予算が削減されて

いる中で一定の採択件数水準を保つ等、努力が見られると認める。

(4) その他業務運営に関する措置について

人事について透明性が確保されていること、平成24年度からプロジェクトリーダーを対象に導入されたテニユア制度が適切に運用されていること、業績に基づく人事評価を実施していること、各種セミナー・研究発表会の積極的な実施等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等から、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できる。