

独立行政法人
国立成育医療研究センター
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年度～25年度）の業務実績について

（1）評価の視点

独立行政法人国立成育医療研究センター（以下「センター」という。）は、母性及び父性並びに乳児及び幼児の難治疾患、生殖器疾患その他の疾患であって、児童が健やかに生まれ、かつ、成育するために特に治療を必要とするもの（以下「成育に係る疾患」という。）に係る医療に関し、調査、研究及び技術の開発並びにこうした業務に密接に関連する医療の提供、技術者の研修等を行うことにより、国の医療政策として、成育に係る疾患に関する高度かつ専門的な医療の向上を図り、もって公衆衛生の向上及び増進に寄与することを目的とする。

本評価は、平成22年4月に厚生労働大臣が定めた中期目標（平成22年度～26年度）全体の業務実績について評価を行うものであり、評価結果を次期中期目標等へ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。以下「政・独委の評価の視点」という。）等も踏まえ、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

受精、妊娠に始まって、胎児期、新生児期、小児期、思春期を経て次世代を育成する成人期へと至るリプロダクションによってつながれた、ライフサイクルに生じる疾患に対する研究と医療を推進するため、病院と研究所が一体となり、日本人のエビデンスの収集や、疾病に悩む患者や家族に対し、安全性と有効性を十分に検証した上で高度先駆的医療の開発と提供を行うとともに、小児救急医療、周産期医療を含めた成育医療全般に関して、チーム医療、包括医療に配慮したモデルを確立し、これらを全国的に展開していくことが求められている。

当期においては、理事長のリーダーシップの下、職員の意識改革が進められる中、現場の裁量・権限の拡大等を通じた業務運営の効率化、国民に対するサービスの質の向上、財務内容の改善を図るための積極的な取組みが行われ、平成22年度～25年度の期間において中期目標に掲げる経常収支に係る目標を達成していることは評価する。今後も中期目標の期間全体において収支相償の目標を達成できるよう努められたい。

研究・開発について、平成22年度において、新たに発見された遺伝物質として注目されているマイクロRNAが骨格形成や慢性関節炎等の難治性疾患の原因となることを世界に先駆けて発表した。平成24年度において、ギランバレー症候群、糖尿病や腰痛などの末梢神経障害の原因遺伝子2種を特定しScience Signaling誌に掲載した。平成25年

度において、Am J Hum Genet 誌 7 月号において、先天心奇形、低身長などを示すヌーナン症候群の原因となる新しい病因遺伝子を世界で初めて同定した成果を掲載した。

国際水準の質の高い臨床研究や難病等の医師主導治験を推進し、日本発の革新的な医薬品・医療機器を創出するための臨床研究中核病院として採択され、平成 25 年度に組織改編で研究所に社会・臨床研究センターを設立し、研究所と病院のより一層の連携強化を図っている。

また、再生医療の確立として、ヒト以外の異種動物成分を使用しない培養条件を用いてヒト ES 細胞 7 株をこれまでに樹立している。革新的医薬品・医療機器・再生医療製品実用化促進事業「ES 細胞を加工した製品や、ES 細胞を活用した、医薬品等のスクリーニングや有効性・安全性の評価方法の確立」を行った結果、平成 25 年度において上記 ES 細胞由来の最終製品を作成することに成功した。加えて、関連研究成果として、マウス ES 細胞から悪性度の高いがんを作ることに初めて成功し PLoS One 誌に掲載され新聞で報道されたことは評価する。

原著論文数の実績としては、平成 25 年度において、平成 21 年度実績に比して 15% 増となる 295 件の発表を行った。特に英文論文数は 242 件と前年に比しても 18 件増加した。特筆すべき事項としては、Lancet 誌 5 月号に掲載された国際共同研究成果があげられる。この研究では 29 ヶ国 30 万人以上の女性を対象に妊産婦死亡およびニアミスに関する調査が行われた。妊産婦死亡およびニアミスの頻度は maternal severity index (MSI) という指標と相関するが治療介入の程度には相関しないという結果が得られた。

医療の提供について、小児肝移植を世界トップレベルで実施し、平成 25 年度における生存率は 100% で生体ドナーに合併症を認めなかった。

高度先駆的医療である「双胎間輸血症候群に対するレーザー手術」を毎年国内トップレベルで実施し、その生存率は世界でもトップレベルである。

また、平成 25 年度において、小児稀少疾患である重症型オルニチントランスカルバミラーゼ欠損症患者児に対し、生体肝移植ドナー手術の際の余剰肝から分離・凍結保存した肝細胞を使用した世界初の肝細胞移植を実施したことは評価する。

このように第 1 期中期目標期間における 4 年間の成果を踏まえると、成育に係る疾患のモデル医療や高度先駆的医療の提供、安全で質の高い医療の実現、研究所と病院が一体となった成育に係る疾患の最先端研究の推進、人材育成、政策提言など、センターが果たしてきた役割は極めて大きく意義深い。

一方、近年の科学技術の進歩により、世界的に見ても革新的な医療技術が相次いで開発されるなど、医療分野の研究開発を取り巻く環境は大きく進展している。その中で、今後ともセンターがその役割を担っていくためには、その時々課題に対応できるよう患者や社会のニーズ、医療上及び経済上のニーズをも十分に意識しつつ、先制医療や新たな医薬品や診断・治療方法の開発、医療機器の開発が推進される社会の実現に貢献することが期待される。

また、国の研究開発に関する戦略を踏まえつつ、国立研究開発法人として研究開発成果の最大化を目指す体制の確保を図ることが重要であり、十分な見通しを持った上で運営されるべきであることに留意されたい。

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) 研究・開発に関する事項

① 臨床を志向した研究・開発の推進

研究所と病院との一層の連携強化を図るため、共同研究会議の開催数は平成21年度に比べ20%以上増加、新規共同研究数は平成21年度に比べ30%以上増加させるとする中期計画に対し、平成25年度においては、平成21年度に比べ、それぞれ30.8%増、27.3%増となっており、中期計画の達成に向け着実に取り組んでいる。

社会・臨床研究センターの知財・産学連携室が企業等の産業界、大学等の研究機関と病院並びに研究所との連携を推進する役割を担わせた結果、企業等との共同研究実施数を平成21年度に比べて10%以上増加させるとする中期計画に対し、平成25年度においては、平成21年度に比べ、共同研究実施数は25件となり、平成21年度に比して56.3%増加し、中期計画を達成していることは評価する。

また、平成25年度に臨床研究中核病院として指定を受け、小児治験ネットワークの被験者候補検索システムの強化等を行った結果、44件（うちセンター外は29件）の臨床試験のデータ管理支援を実施している。

② 病院における研究・開発の推進

規制当局審査経験者、実地調査経験者、臨床研究方法論の教育を受けた医師、CRCをメンバーとした医師主導治験を含む臨床研究支援体制を実施した。

平成25年度において、臨床試験推進室を中心としたチームにより、新規医師主導治験1課題のIRB申請を終了し、他に2課題の実施支援準備を行った。また、計画・立案段階から支援している医師主導治験2課題（4プロトコル、主任研究者は他施設所属）のうち、1課題については、製薬企業により承認申請が行われ、さらのその主な成果がLancet誌にアクセプトされたことは評価する。

③ 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

平成24年度において、ギランバレー症候群、糖尿病や腰痛などの末梢神経障害の原因遺伝子2種を特定しScience Signaling誌に掲載された。

平成25年度において、Am J Hum Genet誌7月号において、先天心奇形、低身長などを示すヌーナン症候群の原因となる新しい病因遺伝子を世界で初めて同定し

た成果を掲載された。また、重症未熟児網膜症に対して早期硝子体手術を行うことで 8 割以上の児で失明を回避できたことを報告し、各新聞に掲載されたことは高く評価する。

(成育疾患の本態解明)

平成 23 年度において、新生児乳児消化管アレルギーの研究で、通常食物アレルギーと同様、牛乳などのアレルゲンに特異的な Th2 細胞の活性化が存在することを世界で初めて発見した。

平成 24 年度において、先天性内分泌疾患（偽性副甲状腺機能低下症）を招く新規 PRKAR1A 変異の同定及び先天症候群の原因となる新規ゲノム構造異常の同定に成功しその成果を発表した。

平成 25 年度において、性腺刺激ホルモン欠乏症で FGF8 遺伝子に新たなフレームシフト変異を同定、遺伝性女性化乳房症（アロマターゼ過剰症）の病因遺伝子 CYP19A の構造変異による発現異常の同定に成功した。

(成育疾患の実態把握)

センターで出産した 1,550 名の妊婦と児を対象に開始した出生コホート研究である「成育コホート研究」は、毎年アンケート調査を実施している。追跡年齢は 7 歳から 9 歳に達し、62.3%（987 名）と高い追跡率を維持している。また、センターで出産した妊婦と児を対象に「成育母子コホート研究」を開始し、「成育コホート研究」では解析できなかった胎盤や臍帯血を収集しゲノム及びエピゲノム解析を行っている。さらに、大規模出生コホート研究であるエコチル調査事業にメディカルサポートセンターとして関与し、平成 25 年度において目標の 10 万人の登録を達成した。

(高度先駆的及び標準的な予防、診断、治療法の開発の推進)

慢性肉芽腫症に対する造血幹細胞を標的とした遺伝子治療臨床研究について、平成 24 年度に厚生労働大臣の承認を受けた後、約 1 年をかけ全国に向けての被検者募集（UMIN8235）を行った。その結果、26 歳の男性患者への遺伝子治療実施が、センターの遺伝子治療臨床研究適応・評価判定委員会で承認され、造血幹細胞遺伝子治療の実施準備の段階に入っている。

無心体双胎に対するラジオ波凝固術は、これまで 34 例を施行しており、治療成績を解析して平成 25 年度に先進医療への申請準備を行っている。

(医薬品及び医療機器の開発の推進)

平成 22 年度において、新たに発見された遺伝物質として注目されているマイクロ RNA が骨格形成や慢性関節炎等の難治性疾患の原因となることを世界に先駆けて発

表した。

臨床研究の倫理に関する研修会を定期的を開催することにより、医師・研究者が積極的に倫理審査委員会に申請を行った結果、平成 25 年度における臨床研究及び治験実施件数の合計は 199 件（倫理委員会承認件数 173 件、治験審査委員会承認件数 26 件）となった。平成 21 年度と比較して 123 件（162%増）の大幅な増加となっており、中期目標期間中に平成 21 年度に比べ、臨床研究及び治験実施件数の合計数を 5%以上増加させるとする目標を達成している。

（医療の均てん化手法の研究開発の推進）

周産期診療のガイドラインは平成 22 年度に作成が終了し、平成 23 年度には全国に発信した。平成 24 年度においては、小児診療部門についても実用性の高いガイドラインを複数作成した。平成 25 年度においては、診療・治療のガイドラインとして、「血友病の止血ガイドライン」、「性分化疾患対応の手引き」、「溶血性尿毒症症候群の診断・治療ガイドライン」、「小児特発性ネフローゼ症候群診療ガイドライン 2013」、「小児インフルエンザ重症呼吸不全に対する診療戦略」を作成し、また、産科実践ガイドの大幅な改訂を行った。

（情報発信手法の開発）

広報戦略部門に専任者を配置し、英語版も含めた Web サイト刷新のための骨子を平成 25 年度に完成させるなど、ホームページにおいて最新情報を積極的に提供している。

妊娠と薬情報センターにおいては、妊娠中の方や妊娠を計画中の方の薬に関する相談を受けており、全国約 30 カ所にある「妊娠と薬外来」での相談、現在の主治医のもとでの相談、電話相談の 3 種類の相談方法により、科学的に検証された医薬品情報を妊婦や妊娠希望者に提供している。

（2）医療の提供に関する事項

① 高度先駆的な医療、標準化に資する医療の提供

小児肝移植を実施しており、平成 25 年度においては 33 例（生体肝移植 31 例、脳死肝移植 2 例）、腎移植 1 例を実施し、単一施設での小児生体肝移植症例数は世界最多であり、生存率は 100%で生体ドナーに合併症を認めなかった。

高度先駆的医療である「双胎間輸血症候群に対するレーザー手術」を毎年国内トップレベルで実施しており、その生存率は世界でもトップレベルで維持している。

また、平成 25 年度において、小児稀少疾患である重症型オルニチントランスカルバミラーゼ（OTC）欠損症患者に対して、生体肝移植ドナー手術の際に生じる余剰肝から分離・凍結保存した肝細胞を使用した点で世界初の肝細胞移植を実施したこ

と、先天性横隔膜ヘルニアに対する胎児鏡下バルーン気管閉塞術を日本で初めて実施したことは高く評価する。

② 患者の視点に立った良質かつ安心な医療の提供

患者満足度調査については、より患者・家族の声を反映できるよう調査対象者を拡大、調査票の配付枚数を倍増させて実施し集計等を行っている。また、調査結果を全職員に周知し業務の改善に努め、満足度の向上を図るようにしている。

小児がんセンター新規入院患者には全てソーシャルワーカーが面接して、社会資源等の案内を行い、その後も相談もしやすくなるように工夫している。

セカンドオピニオンは、中期目標期間中に平成 21 年度に比べ 5%以上増加させるとする中期計画に対し、平成 25 年度においては、総数 172 件で平成 21 年度と比較して 143 件増（493%増）となっており、中期計画を達成している。

退院支援チームが関与した退院困難なケース数を中期目標期間中に平成 21 年度に比べ 5%以上増加させるとする中期計画に対し、平成 25 年度においては、72 件に関与し、平成 21 年度と比較して 52 件増（260%増）となっており、中期計画を達成していることは評価する。

医療安全管理室の体制強化のため、平成 25 年度に専任の室長、看護師長等を配置した。医療安全管理委員会を毎月開催し、インシデント集計・分析報告をもとに対策の立案、規定やマニュアル等の見直しを行っている。加えて、ヒアリハットニュースの発行、医療安全パトロールの実施、研修の充実等を実施しており、医療安全対策の強化を図っている。

③ その他医療政策の一環として、センターで実施すべき医療の提供

総合周産期センターとして分娩数は毎年増加し、平成 25 年度は年間 2,142 件であり、このうち約 7 割が多胎分娩、胎児異常等のハイリスク分娩である。

日本でも一、二を争う数の小児救急患者を毎年診療している。平成 25 年度においては、31,621 名の救急患者を診療し、3,182 台の救急車搬送を受け入れており、31,621 名の来院患者の中で、“蘇生”および“緊急”とトリアージされた患者は合計で 5,156 名（16.3%）、入院となった患者は 4,276 名（13.5%）で、これらはいずれも小児救急医療として高い数字であり、緊急度、重症度の高い患者を受け入れている。

平成 25 年度においては、小児がんセンターを組織し、診療部門、研究部門、患者支援部門に機能分担し、病院、研究所が互いに協力して各診療科を横断的に統合した体制を目指し、小児医療の専門機能を結集した小児がん診療を行っており、厚生労働省から独立行政法人国立がん研究センターとともに小児がん中央機関に選定されたことは評価する。

(3) 人材育成に関する事項

成育医療研修会において、医師・看護師・診療放射線技師コースを実施しセンター外から研修を受け入れたほか、臨床研究に関するセミナーや成育臨床懇話会など、センター外も対象とするセミナー、講演を多数開催し、センター外の医療従事者等に向けた各種研修、講演会等を年 20 回以上開催とする中期計画を毎年達成していることは評価する。

平成 25 年度においては、センターが小児期医療・周産期医療での臨床研究において、中心的役割を果たすべく、カリフォルニア大学サンフランシスコ校とインターネット回線で結び、**Designing Clinical Research** の 7 回シリーズの教育コースを行った。

(4) 医療の均てん化と情報の収集・発信に関する事項

小児炎症性腸疾患研究会の中心施設として、患者診療に留まらず、レジストリをはじめとする臨床研究での連携について都道府県を越えて推進している。炎症性腸疾患の子ども達のためのサマーキャンプも、センターが中心となり、首都圏全体から患者を募って実施した。

小児治験ネットワーク（加盟 32 施設（平成 25 年度末日）、加盟施設の小児病床数は約 5,500 病床）の中央事務局機能を担うとともに小児治験ネットワーク中央治験審査委員会事務局も担っている。平成 25 年度においては 12 回開催し、小児治験ネットワークを介した治験（7 新規課題）の審査を実施したことは評価する。

胆道閉鎖症の早期発見を目的としてセンターが中心になり開発した便色カードを用い、平成 24 年度から全国的にマス・スクリーニングが行われているが、平成 25 年度から 1 年間、中国北京市で 3 万人の新生児を対象とするパイロットスタディとして行うことが決定した。

(5) 国への政策提言に関する事項、その他我が国の医療政策の推進等に関する事項

がん対策推進協議会に小児がん専門委員会が設置され、小児がん専門委員会の委員として参画した結果、平成 24 年度からがん対策推進基本計画に、これまでほとんど触れられていなかった小児がん対策が盛り込まれることになった。

iPS・ES 細胞の承認や治療に関する国の委員会に参画し専門的提言を行うなど、ヒト ES 細胞を含むヒト幹細胞を用いる臨床研究に関して、平成 23 年度に行った改訂の提言が採用され、指針の改定につながった。

平成 25 年度においては、内閣府の少子化危機突破タスクフォース（第 2 期）の中心的な役割を果たし、これまでの議論と成果、今後取り組むべき課題と進むべき方向性（7 課題）、今後に向けた提言（3 提言）からなる『少子化危機突破タスクフォース（第 2 期）まとめ』を作成し少子化社会対策会議に提言したことは評価する。

(6) 効率的な業務運営に関する事項

① 効率的な業務運営体制

理事会、執行役員会議、企画戦略室等による運営を引き続き適切に実施することにより、ガバナンスの強化や研究・医療等の充実に資する事業計画策定及び的確かつ迅速な意思決定を行っていることは評価する。

適切かつ効率的なセンターの運営に資するため、引き続き特命事項を担う副院長複数制を実施し、様々な事案に対し迅速な対応を図っている。

② 効率化による収支改善、電子化の推進

センターの特性や機能を考慮した運営方針に応じ、職員の適正配置を行う等により診療報酬上の上位基準取得等を図るとともに、人件費及び材料費等に係るコスト縮減に努めてきたところであり、平成 22 年度～25 年度の期間において中期目標に掲げる経常収支に係る目標を達成している。今後も中期目標の期間全体において収支相償の目標を達成できるよう努められたい。

一般管理費の削減については、委託内容の見直しによる委託費の削減、消耗品等の費用削減など、経費の縮減、見直しを行い、平成 25 年度においては、平成 21 年度に比して 20.8%（134 百万円）節減を図り、中期計画の数値目標（中期目標期間の最終年度において平成 21 年度比 15%以上）を上回っていることは評価する。

医業未収金については、定期的な督促業務を行うとともに、新規発生の防止という観点から、分娩入院の患者を対象とした事前の預かり金制度やクレジットカードによる支払いを引き続き行い、更なる未収金の新規発生の防止に努めた結果、平成 25 年度においては、医業未収金比率が 0.043%となり、中期計画の数値目標を上回る低減ができています。

(7) 法令遵守等内部統制の適切な構築

内部監査を担当する監査室において、監事及び会計監査人と連携のうえ、内部監査計画に基づき監査を実施している。平成 25 年度は、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（競争契約の実施状況、随意契約の検討）、棚卸資産管理に関する事項、毒劇物の管理に関する事項などの監査を実施した。

監事及び外部有識者で構成する契約監視委員会においては、競争性のない随意契約の妥当性、一者応札・一者応募が続いた場合の競争性を確保するための改善方策の妥当性、落札率が 100%となっている契約の予定価格設定に関する妥当性等について点検を実施し、委員会審議の概要及びフォローアップ票については、ホームページにおいて公表していることは評価する。

(8) 予算、収支計画及び資金計画等

寄附については、ホームページ上で具体的な目的及び税制上の優遇措置等について案

内をし、その他の競争的資金についても職員に対する情報提供や手続きにかかる助言を行う等、獲得に努めている。

研究・医療の高度化、経営面の改善、患者の療養環境の改善等のための整備については、自己資金等を活用し、借入金の元利償還を約定通り行うことにより、長期借入金の残高を減少させたことは評価する。

(9) その他業務運営に関する事項

組織目標を効率的かつ効果的に達成するための人事評価制度について、人材育成という観点からも実施している。職員人事規程を整備し、医長職以上の管理職員については公募制を基本として採用委員会により優秀な人材の確保に努め、常勤職員の公募を行っている。

理事長及び理事により、各職場の一般職員等を対象にセンターが抱える問題点や解決に向けての方策等について意見交換を行い、重要性や緊急性等を考慮したアクションプランを作成し、緊急性が高い項目については取り組みを開始していることは評価する。