

## (健康安心イノベーションプログラム)

## 「基礎研究から臨床研究への橋渡し促進技術開発／橋渡し促進技術開発」

## 基本計画

バイオテクノロジー・医療技術開発部

## 1.研究開発の目的・目標・内容

## (1) 研究開発の目的

本研究開発は、創薬に資する基盤技術の開発、再生医療の確立、医療機器・福祉機器の開発等の手段を適切に組み合わせることによって、健康維持増進、疾患の早期診断、及び適切な治療法の提供を実現し、個の医療を通じた健康寿命の延伸、生活の質の向上を図り、今後、成果に類を見ない少子高齢化が進展する我が国において、国民が健康で安心して暮らせる社会の実現をめざすことを目的とする「健康安心イノベーションプログラム」の一環として実施する。また、本研究開発は、第3期科学技術基本計画 分野別推進戦略（ライフサイエンス分野）における戦略重点科学技術の内、「臨床研究・臨床への橋渡し研究」に位置づけられている。

近年、少子高齢化が進む中、がん、糖尿病、認知症等の成人性疾患等に関する新たな医療技術の開発が望まれており、その実現のためには進展著しい医療分野の多様な要素技術や研究成果を、創薬や、これを支援する解析ツール、診断技術、医療機器等の開発に応用する必要がある。そのためには、迅速な実用化に向け、民間企業と臨床研究機関が一体となって研究開発を行うことが重要である。

そこで、本研究開発では、現場のニーズを掘り起こし、多様な技術分野の研究成果を円滑に医療現場に届けるために、臨床研究成果の開発へのフィードバックを重視しながら、これまで実現できなかった治療・診断効果を発揮する医療技術、特に、患者の負担軽減（QOL向上、低侵襲化、治療期間の短縮等）や医師・看護師等、医療従事者の負担軽減（操作性向上等）に資する技術の汎用化を実現する、新たな医療技術・システムを開発する。また、医療の高度化、個別化に対応した安全性の向上及び医療技術等の実用化の加速を実現する評価技術を開発する。これらの開発により、科学技術の進歩に応じた医療技術の迅速な実用化・普及を図る。

実施に当たっては、ベンチャー等民間企業と臨床研究機関の有機的な連携を実現する。臨床研究機関としては、文部科学省や厚生労働省が整備する橋渡し研究支援拠点や臨床研究機関を含め、橋渡し研究を効果的に実施できる臨床研究機関を活用する。これにより、臨床研究機関の拠点化の促進や機能の充実を通じた我が国の臨床研究基盤の強化に資する。

本研究開発を通じて、臨床研究機関の機能、民間企業と臨床研究機関の連携体制、評価手法等が充実することにより、自律的かつ持続的なイノベーションと研究成果の社会還元が促進されることを期待する。

## (2) 研究開発の目標

本研究開発では、上記目的を達成するための研究開発として、橋渡し研究の他、先導研究及びレギュラトリーサイエンス支援のための実証研究を実施する。以下に研究開発の対象フェーズと達成目標を示

す。個別研究開発テーマの目標について、採択後に具体的な数値目標を定め、事業全体としては各研究開発テーマの目標を達成することとする。

#### ①橋渡し研究

新たな医療技術・システムについて、実用化に向けた研究開発、非臨床試験、探索的臨床研究\*及び評価技術の研究開発等を行う。委託事業終了後2年程度で実用化・普及のための臨床研究（治験）を開始できるレベルを委託事業の達成目標とする。

#### ②先導研究

波及効果及び新規性の高い新たな医療技術・システムについて、その実用化の可能性を見極める研究開発を行う。委託事業終了後に本格的な橋渡し研究、例えば上記①橋渡し研究に該当する研究フェーズに移行できるレベルを委託事業の達成目標とする。

#### ③レギュラトリーサイエンス支援のための実証研究

新たな医療技術・システムの迅速な実用化や早期普及に向けた有効性・安全性・品質等評価技術の研究開発を行い、その社会的活用に向けた検証を行う。委託事業終了後2年程度で評価技術として確立できるレベルを委託事業の達成目標とする。

\*探索的臨床研究とは、基礎研究の成果である新規医療技術の有効性を探るための臨床研究をいう。

### (3) 研究開発の内容

#### ① 概要

本研究開発の対象とする研究開発テーマは以下の4課題とする。なお、レギュラトリーサイエンス支援のための実証研究については、以下に掲げた課題を含め、幅広い医療技術への適用が可能な、有効性・安全性等評価技術を対象とする。なお、本事業は、産学官の複数事業者が互いのノウハウ等を持ち寄り協調して実施する事業であり、委託事業として実施する。

##### a) 創薬技術

新たな効果・効用の実現、副作用の軽減、効果の制御、個人の特性に配慮した薬剤設計等を可能とする分子標的薬、バイオ医薬、DDS（ドラッグ・デリバリー・システム）、ワクチン等の新たな創薬技術・システムの開発を行い、併せて、当該創薬技術・システムの有効性、安全性・品質等の評価技術の研究開発を行う。

##### b) 診断技術

疾患の解析及び診断の高度化、診断の簡便化・効率化等を可能とする、バイオマーカー・診断技術・診断機器等の新たな診断技術・システムの開発を行い、併せて、当該診断技術・システムの信頼性・再現性・普遍性の評価、早期普及を図るための標準化等を行う。

##### c) 再生・細胞医療技術

新たな疾患治療、患者のQOL向上等を可能とする、再生・細胞医療等技術・システムの開発を行い、併せて、当該再生・細胞医療等技術・システムの有効性、安全性・品質等の評価技術の研究開発を行う。

##### d) 治療機器

治療における安全性の向上、効率化、低侵襲化、治療効果の高度化等を実現する新たな治療機器・システムの研究開発を行い、併せて、当該治療機器・システムの有効性、安全性・品質等の評価技術の研究開発を行う。

## ② 対象事業者

本技術開発は、独立行政法人新エネルギー・産業技術総合開発機構（以下「NEDO」という。）が、原則本邦の企業、大学等の研究機関（原則、国内に研究拠点を有していること。ただし、国外企業の特別の研究開発能力、研究施設等の活用あるいは国際標準獲得の観点から国外企業との連携が必要な部分はこの限りではない。）から、公募によって研究開発実施者を選定し、委託により実施する。

研究開発実施者の選定にあたっては、研究開発が5.（2）②の事項を満たす橋渡し研究拠点等において実施されることと共に、臨床研究者と民間企業並びに多様な分野の研究者が密接に連携して研究開発を行う体制を構築・運営できることとする。

## ③ 研究開発テーマの実施期間及び規模

研究開発テーマ毎の実施期間及び事業費の額は次の通りとする。ただし、実施期間や事業規模の拡大による著しい開発効果が見込まれるものについては、本研究開発の実施期間の範囲内において必要な期間・規模で実施する。なお、実施にあたっては、分担・管理を明確化したうえでの文部科学省や厚生労働省の関連研究事業の積極的な活用を奨励する。

### a) 橋渡し研究

テーマ毎の実施期間は2～3年程度とする。（委託額：一件につき年間3億円程度を上限とする。）

### b) 先導研究

テーマ毎の実施期間は1～2年程度とする。（委託額：一件につき年間5千万円程度を上限とする。）

### c) レギュラトリーサイエンス支援のための実証研究

テーマ毎の実施期間は2～3年程度とする。（委託額：一件につき年間2億円程度を上限とする。）

## 2. 研究開発の実施方式

### （1）研究開発の実施体制

研究開発ポテンシャルの最大限の活用により、効率的な研究開発の推進を図る観点から、研究開発グループ毎にNEDOが指名する研究開発責任者（テーマリーダー）を置き、その下に研究者を可能な限り結集して効果的な研究開発を実施する。

### （2）研究開発の運営管理

研究開発全体の管理・執行に責任を有するNEDOは、経済産業省及び厚生労働省、文部科学省と密接な連携を維持しつつ、プログラムの目的及び目標、並びに本研究開発の目的及び目標に照らして適切な運営管理を実施する。また、NEDOに設置する技術委員会等における外部有識者の意見を運営管理に反映させる等を行う。具体的には以下の事項について運営管理を実施する。

#### ① 研究開発テーマの公募・採択

- a) ホームページ等のメディアの最大限の活用等により公募を実施する。また、公募に際しては、機構のホームページ上に、公募開始の1ヶ月前には公募に係る事前の周知を行う。
- b) 機構外部からの幅広い分野の優れた専門家・有識者の参画による、客観的な審査基準に基づく公正な選定を行う。
- c) 公募締切から70日以内での採択決定を目標とし、事務の合理化・迅速化を図る。
- d) 選定結果の公開と不採択案件応募者に対する明確な理由の通知を行う。
- e) 原則、年間一回の採択を実現する。

## ② 研究開発テーマの評価

NEDOは、技術的及び政策的観点から、研究開発の意義、目標達成度、成果の技術的意義並びに将来の産業への波及効果等について、外部有識者による厳正な技術評価を年一回実施するとともに、その評価結果を踏まえ必要に応じて研究開発テーマの加速・縮小・中止等見直しを迅速に行う。

## 3. 研究開発の実施期間

本研究開発の実施期間は、平成19年度～平成24年度までの6年間とする。

## 4. 研究開発評価に関する事項

本研究開発は「テーマ公募型の事業」として運営し、「制度評価指針」に基づき、原則、内部評価により毎年度、制度評価を実施する。（事後評価を含む。）但し、制度立上げの初年度、翌年度に公募を実施しない年度においては制度評価を実施しないこととする。また、評価結果を踏まえ、必要に応じて制度の拡充・縮小・中止等の見直しを迅速に行う。

## 5. その他の重要事項

### (1) 研究開発成果の取り扱い

#### ① 成果の産業化

- a) 受託者は、研究開発テーマから得られる研究開発成果の産業面での着実な活用を図るため、研究開発テーマの終了後に実施すべき取り組みのあり方及び研究開発成果の産業面での活用のビジネスモデルを立案することとする。また、上記の立案した取り組みのあり方及びビジネスモデルについて、研究開発の進捗等を考慮して、研究開発テーマ期間中に必要な見直しを行うこととする。
- b) 受託者は、上記a)で立案した取り組みとビジネスモデルを研究開発テーマ終了後、迅速に実用化へ結びつけるために、円滑な臨床研究（治験を含む）への展開に努め、成果の産業面での活用を目指すものとする。

#### ② 標準化への取り組み

本研究開発からの新規医療、診断を世界標準とするため、医療技術及び評価技術の標準化に向けた取り組み等を併せて行い、実用化の加速に向けた基盤構築を行う。得られた研究開発の成果については、知的基盤整備又は標準化等との連携を図るため、標準化に必要なデータ収集やデータベースへのデータの提供、JIS TS/TR など、国内外の標準化制度へ積極的に提案する。

### ③ 知的財産権の帰属

委託研究開発の成果に関わる知的財産権については、「独立行政法人新エネルギー・産業技術総合開発機構新エネルギー・産業技術業務方法書」第25条の規定等に基づき、原則として、すべて委託先に帰属させることとする。

## (2) 橋渡し研究拠点等について

### ① 橋渡し研究拠点の活用

本研究開発では橋渡し研究拠点の産業のニーズに応じた体制整備に貢献するべく、これら拠点を積極的に活用する。本研究開発の終了後、橋渡し研究拠点は本研究開発により得られた成果の円滑な医療現場での普及に向けて努力する。また、橋渡し研究を促進に向けて、得られた臨床研究結果の基礎研究へのフィードバック及び民間企業等との多様な橋渡し研究の推進に努めるものとする。

### ② 橋渡し研究拠点が満たしていることが期待される事項

探索的臨床研究及び治験について一定の実績を有する主導的な機関であり、民間企業等と一体的に研究開発を推進するための施設及び体制が構築されているとともに、探索的臨床研究を適切に行うために必要な施設並びに実施体制が構築されており、一定の実績を有する機関を橋渡し研究拠点とする。

例えば、以下の機能を有する又は有する見込みであることが望ましい。

- a) 民間企業等との共同研究スペース等、円滑に民間企業と連携するための施設及び体制（関連規定等）が整備されている。
- b) 創薬技術、再生・細胞医療については、GMP（Good Manufacturing Practice）準拠または同等の施設で製造した製剤の調達及び受け入れが可能である。
- c) 倫理審査委員会またはこれと同等の組織を有し、臨床研究に対して積極的かつ透明性の高い運営を実施している。
- d) 臨床研究を管理、モニタリングする当該研究実施者とは独立した監査部門又は監査機能を有している。
- e) 臨床研究に関する有害事象等に対し、迅速かつ適切に対応できる体制が構築されている。
- f) 臨床結果を解析・評価・報告する能力を有している。
- g) 臨床プロトコル作成などの臨床研究の支援機能等を有している。
- h) 円滑、且つ適切に患者をリクルート出来る実施体制を構築している。

等

\* 文部科学省並びに厚生労働省が実施する予定の次の事業により整備される、橋渡し研究拠点の活用を推奨する。なお、独自の活動により上記の事項を満たす体制整備がなされている橋渡し研究拠点も積極的に活用する。

「橋渡し研究支援形成プログラム」文部科学省研究振興局ライフサイエンス課

「臨床研究基盤整備推進研究」厚生労働省医政局研究開発振興課

(3) 基本計画の変更

NEDO は、研究開発内容の妥当性を確保するため、社会・経済的状況、内外の研究開発動向、政策動向、プログラム基本計画の変更、第三者の視点からの評価結果、研究開発費の確保状況、当該研究開発の進捗状況等を総合的に勘案し、達成目標、実施期間、研究開発体制等、基本計画の見直しを弾力的に行うものとする。

(4) 根拠法

本研究開発は、独立行政法人新エネルギー・産業技術総合開発機構法第15条第1項第2号に基づき実施する。

(5) 関連指針の遵守

当該研究開発の実施にあたっては、「ヒトゲノム・遺伝子解析研究に関する倫理指針」（平成13年 文部科学省・厚生労働省・経済産業省告示第1号倫理指針、平成16年12月28日全部改正、平成17年6月29日一部改正）、「臨床研究に関する倫理指針」（平成16年 厚生労働省告示第459号、平成16年12月28日全部改正）、「遺伝子治療臨床研究に関する指針」（平成16年文部科学省、厚生労働省告示第1号平成14年3月27日、平成16年12月28日全部改正）、「ヒト幹細胞を用いる臨床研究に関する指針」（平成18年厚生労働省告示 第425号 平成18年7月3日）等関連の指針を厳守しなければならない。また、本研究開発成果の事業化においては、「経済産業分野のうち個人情報を用いた事業分野における個人情報保護ガイドライン」（平成16年12月24日製局第1号）を厳守しなければならない。

6. 基本計画の改訂履歴

(1) 平成19年6月制定

(2) 平成20年7月、イノベーションプログラム基本計画の制定により、「(1) 研究開発の目的」の記載を改訂。

(3) 平成22年3月、探索的臨床研究基盤活用事例創出のために期間延長等行うことにより、改訂。