

平成16年度 第2回研究業務運営評議会

研究開発振興業務の実施状況

平成17年3月15日

独立行政法人医薬品医療機器総合機構

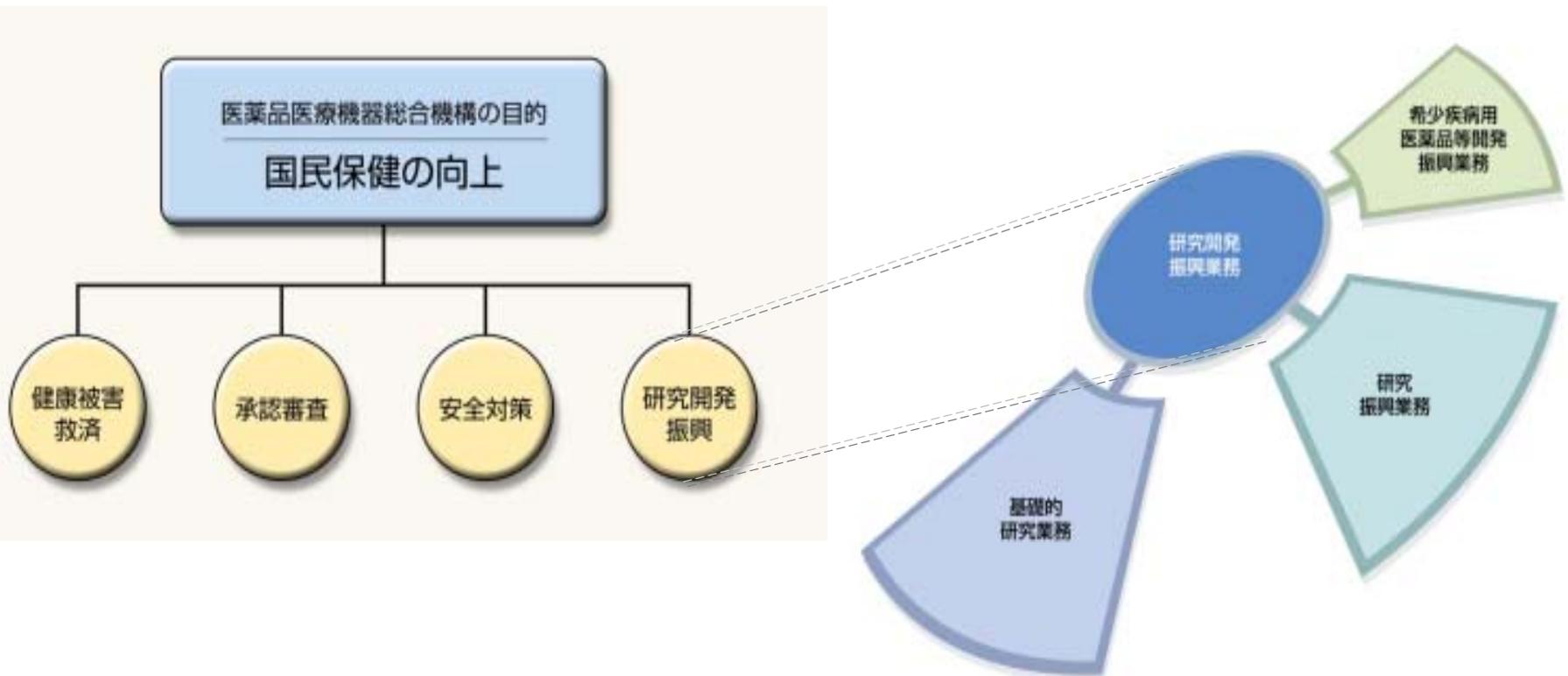
研究振興部

研究開発振興業務の概要

研究振興部では

国民の健康の保持増進に役立つ画期的な医薬品・医療機器の開発などに必要な試験研究の振興
希少疾病用医薬品等の研究開発に対する助成金の交付、指導・助言

等の業務を行っている。



各業務の対象

採択時の研究の段階



【基礎研究】

【応用研究】

【開発研究】

主として大学
国研

純粋基礎
(学術目的)

応用基礎
(医薬品創薬目的)

創薬
ターゲット
検索

スクリー
ニング系
開発

候補
化合物
探索

候補
化合物
最適化

非臨床
試験

臨床
試験

審査

基礎的研究業務

研究振興業務

希少疾病用
医薬品等
開発振興業務

研究の
実施
主体

企業

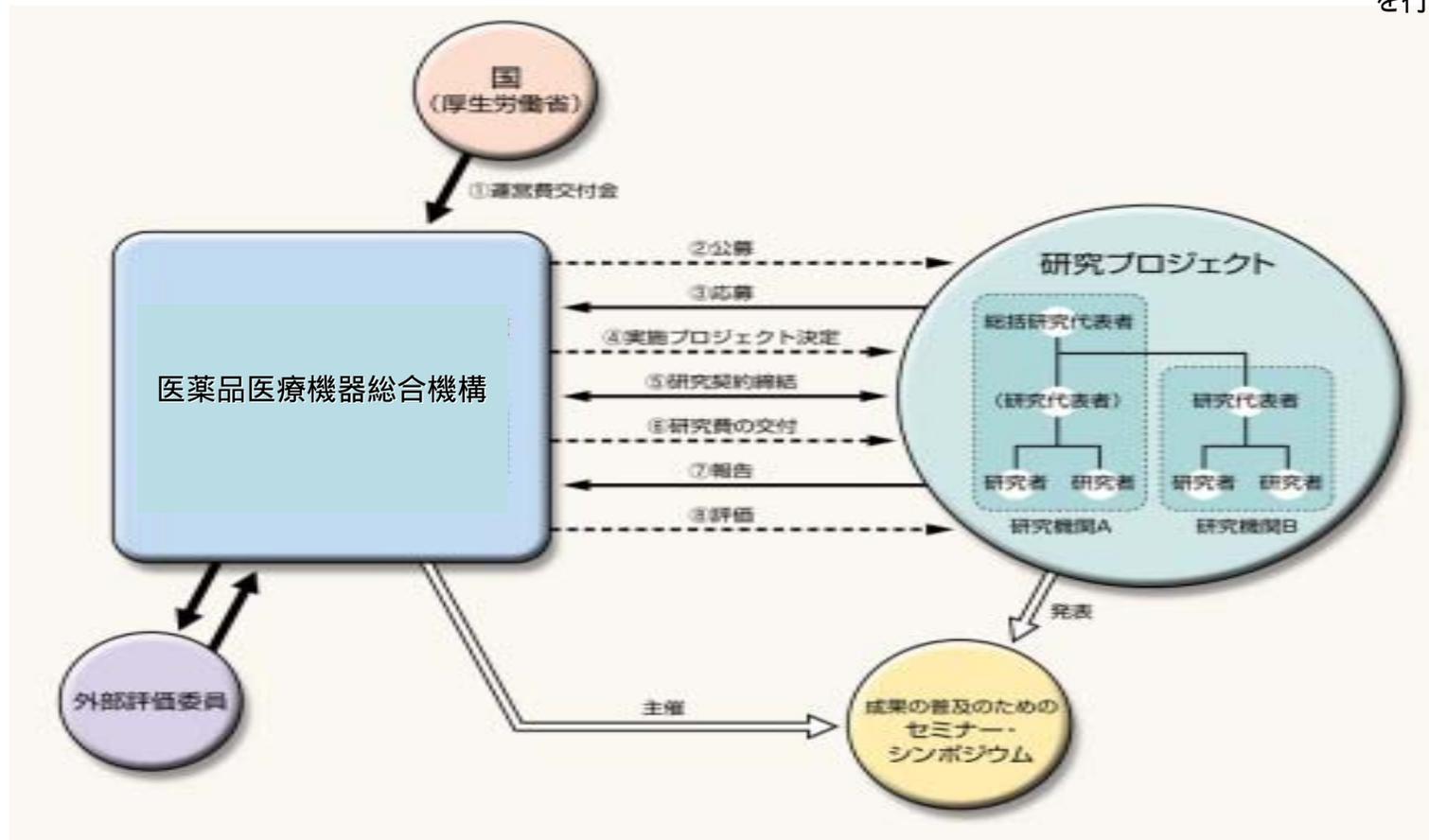
基礎的研究業務

国民の健康の保持増進に役立つ画期的な医薬品・医療機器の開発につながる可能性の高い基礎的な研究を国立試験研究機関や大学などと研究契約を締結し実施。

当機構が募集分野を定め、公募を行い、実施プロジェクトを決定して実施する研究(「一般公募による研究事業」)

厚生労働省から研究の基本方針や研究実施機関などの指定を受けて実施する研究(「遺伝子解析による疾病対策・創薬推進事業」、「メディカル・フロンティア戦略に係わる基礎的研究」)

を行っている。



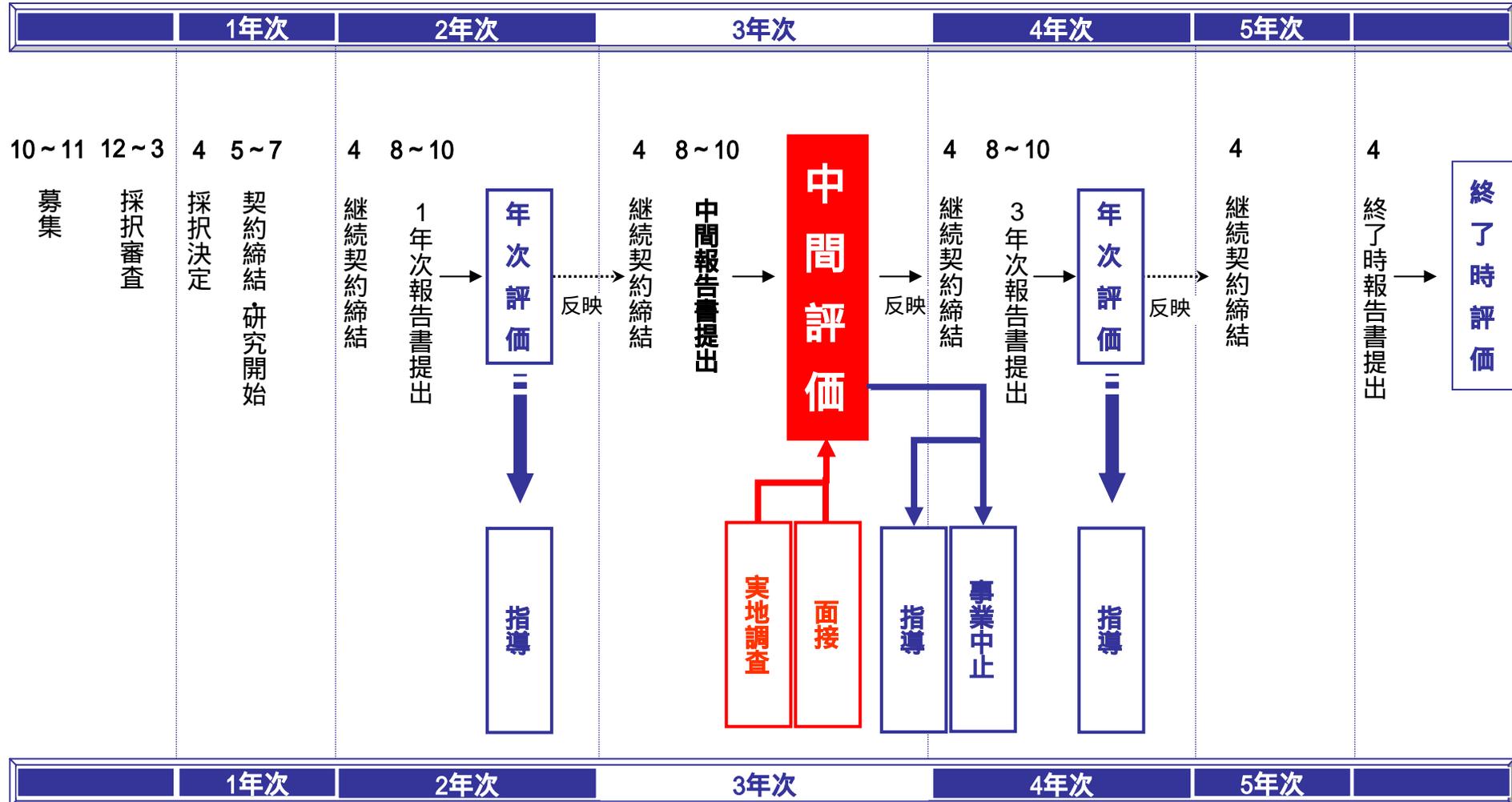
ファンドの機能充実

- ファンドの実績が問われる時代
- ファンド間の競争

- 競争原理の徹底
- 客観的な基準による厳格な評価

- 原則公募による採択
- 研究計画を重視した案件の採択
- 中間評価を通じたプロジェクトの見直し

基礎研究プロジェクトの採択から終了まで



プロジェクト実施期間中の研究内容見直しについて

1. 必要性

医薬品、医療機器の研究開発には、多くの試験の実施が必要であり、また長期間を要することから、研究開発の途中でドロップアウトしたり、当初の開発目標の変更や、実施すべき試験計画の変更が必要となる場合も多い。

したがって、採択時に医薬品、医療機器の開発につながる可能性の高い、適切な研究計画のプロジェクトを選定することはもちろん、その後の実施期間中も、進捗状況等を適切に把握し、必要な見直しを行うことが不可欠。

2. 見直しの機会

年度毎の配分額決定時又は契約締結時
年次評価(2年目、4年目)
中間評価(3年目)

3. 判断材料

年度毎の研究実施計画、研究費支出計画

年度研究成果報告書

実地調査結果

面接評価(研究代表者による進捗状況等に関するプレゼンテーションと質疑応答)

4. 研究内容見直しについての考え方

3年目の中間評価を重視した見直しを行う。

原則として全ての中間評価対象プロジェクトについて、実施調査及び面接評価を実施する。

研究実績に応じたメリハリのある研究費配分を行う。

研究実績等に基づき、必要に応じて研究計画の変更等の指導・助言を行い、更に指導・助言等の実施にもかかわらず研究成果の上がない研究プロジェクトについては中止する。

体制の整備

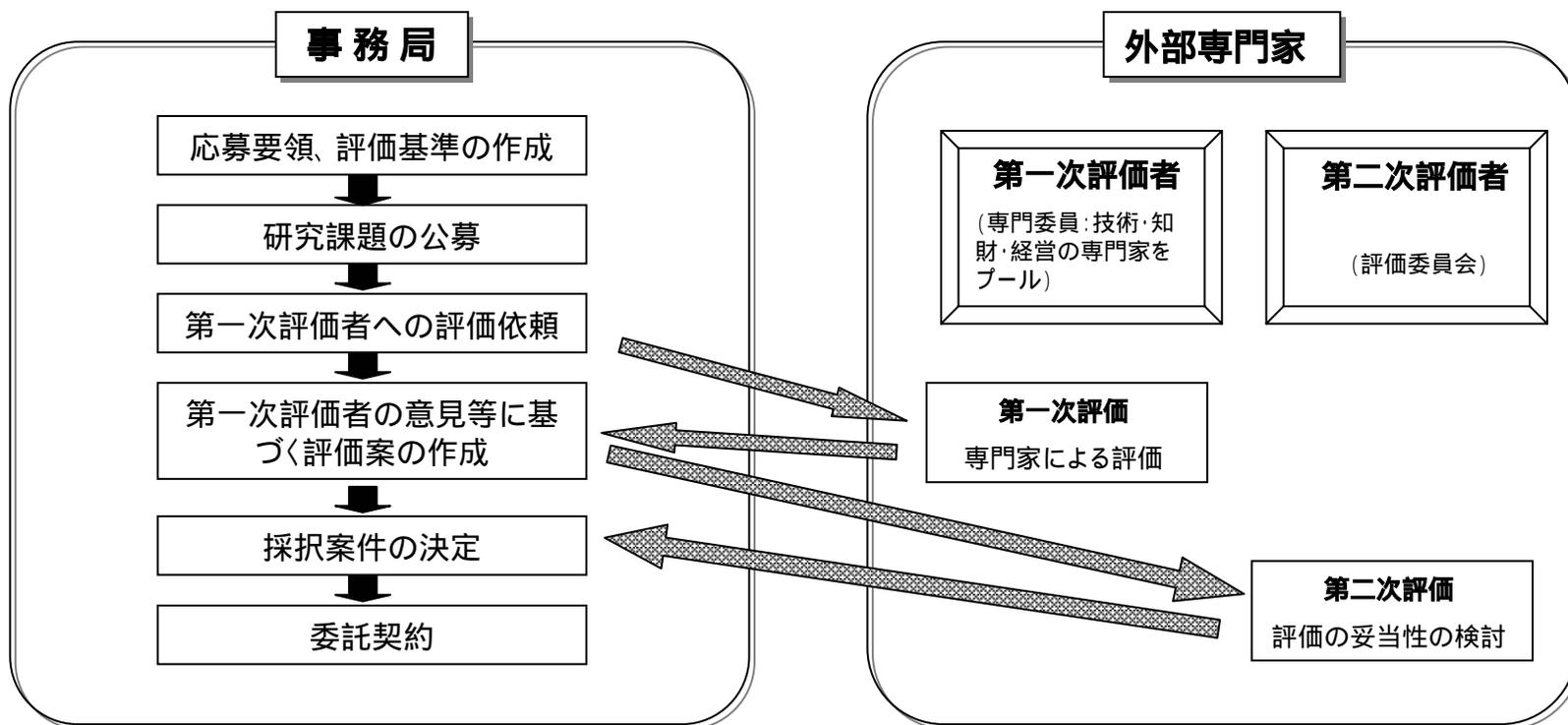
(1) 「基礎的研究評価委員会」、「実用化研究評価委員会」の設置

上記委員会の委員、専門委員の委嘱を行い、基礎研究業務、研究振興業務に係る研究プロジェクトについて、それぞれ外部の専門家により評価（書面評価、面接評価の二段階評価）を行う体制を構築した。

基礎的研究評価委員会	委員11人	専門委員24人
実用化研究評価委員会	委員15人	専門委員18人

(2) プログラムオフィサー制度の導入

研究計画の見直しを指導するとともに、研究開発資源配分の見直しを行うため、研究経験を有する外部の専門家を配置した。



基礎的研究業務の実績

(継続案件)

一般公募による研究事業	10億円	14課題
遺伝子解析による疾病対策・創薬推進事業	37億円	6課題
メディカルフロンティア戦略に係る基礎的研究	25億円	16課題

(新規案件)

今年度の新規課題について、9課題(別紙)・6億円の採択決定を行った。

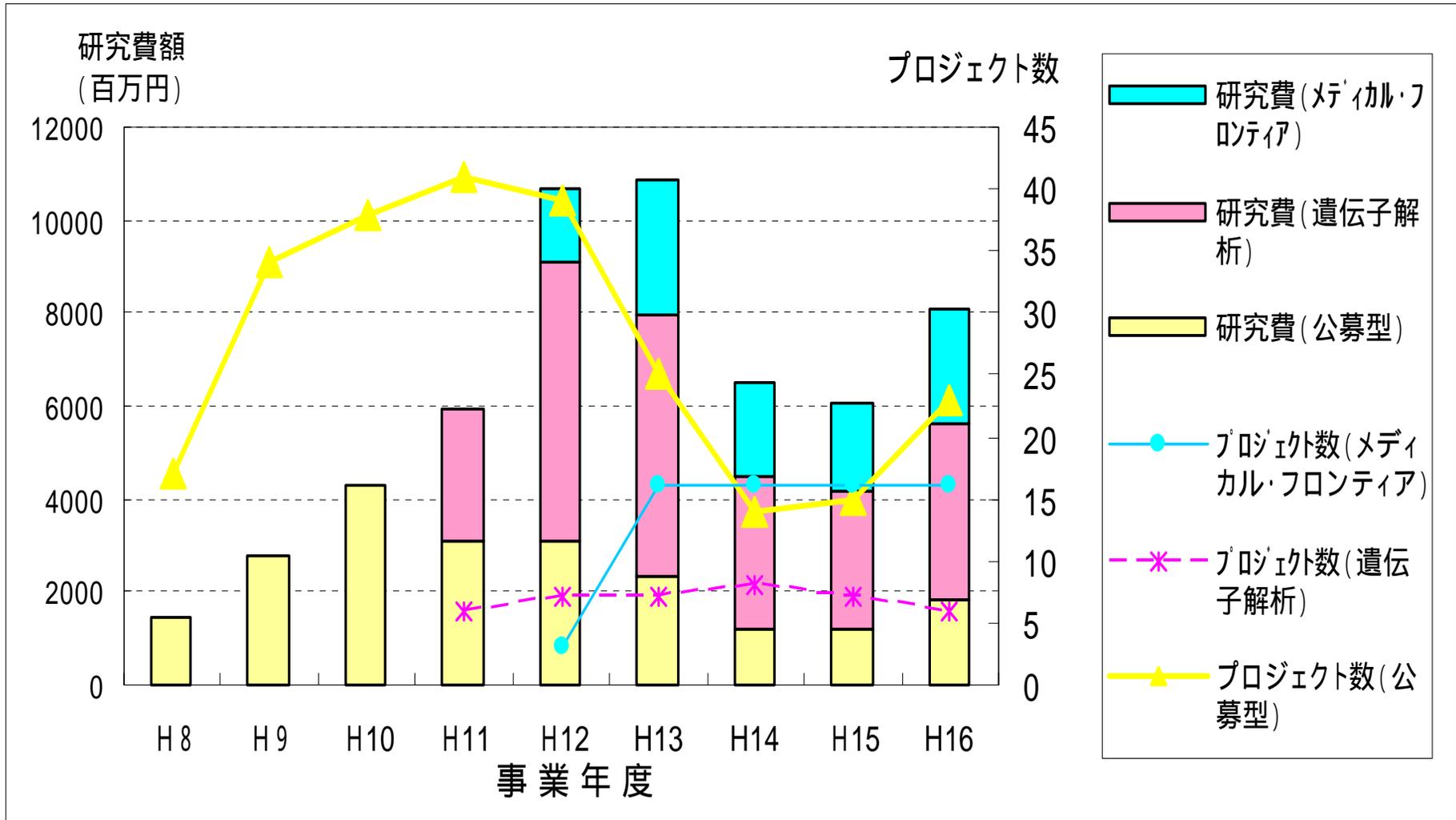
実地調査や、10月22日に開催した基礎的研究評価委員会における中間(年次)評価に基づき、研究計画の変更指導、助成金の配分見直し等を実施した。

中間評価	5課題	(実地調査:	5課題	9機関)
年次評価	21課題	(実地調査:	13課題	19機関)
終了時評価	1課題			

平成16年度新規採択研究プロジェクト (一般公募分)

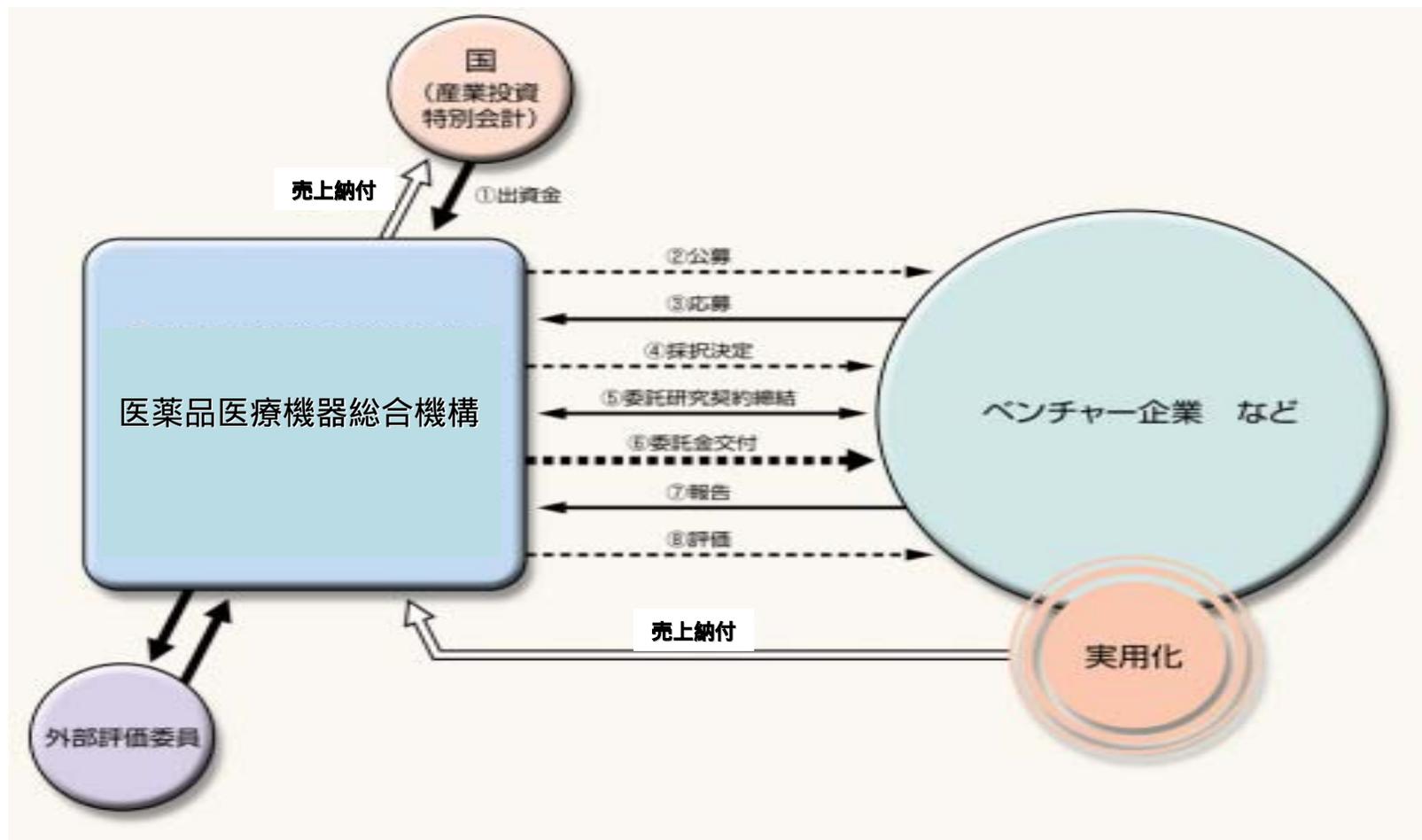
研究プロジェクト名	総括研究代表者名 (所属機関)
リゾリン脂質性メディエーターを標的とした新規アレルギー治療薬の開発	新井 洋由 (東京大学大学院薬学系研究科)
SARS克服を目指した免疫療法の開発	笹月 健彦 (国立国際医療センター)
新規膜蛋白質「シノビオリン」のユビキチンリガーゼ活性を特異的に阻害する抗リウマチ薬の開発	中島 利博 (聖マリアンナ医科大学難病治療研究センター)
ヒストン脱アセチル化酵素の分子機能に基づく創薬化学	西野 憲和 (九州工業大学大学院生命体工学研究科)
RNA結合蛋白を標的とする革新的抗ウイルス剤の開発	萩原 正敏 (東京医科歯科大学大学院疾患生命科学部)
遺伝子と蛋白質の対応付け分子を用いた薬剤標的蛋白質の網羅的スクリーニングと新規分子標的抗癌剤の探索研究	柳川 弘志 (慶応義塾大学理工学部生命情報学科)
ゲノムインフォマティクスおよびグライコプロテオミクスに基づく癌選択的リガンド結合ステルスリポソームの実用化に関する研究	柳衛 宏宣 (東京大学先端科学技術研究センター)
HDL 産生遺伝子の発現/転写翻訳後制御による動脈硬化予防治療技術の開発	横山 信治 (名古屋市立大学大学院医学研究科)
新規抗マラリア薬の開発に関する研究	綿矢 有佑 (岡山大学大学院自然科学研究科(薬学系))

基礎研究事業の予算額及び実施件数の推移



研究振興業務

国民の健康の保持増進に役立つ画期的な医薬品・医療機器の実用化段階における研究を支援。
ベンチャー企業などに必要な研究資金をバイ・ドール委託方式で提供。
(バイ・ドール委託方式とは、研究成果や知的所有権を研究を行った企業等に帰属させる方式。)



研究開発を製品化につなげるための取組み

有望案件に関する情報収集

ベンチャーキャピタル等との連携、ネットワーク

技術情報集、知財情報集による研究開発状況の把握

実用化の可能性評価

医薬品審査を熟知した専門家により実用化の可能性を評価

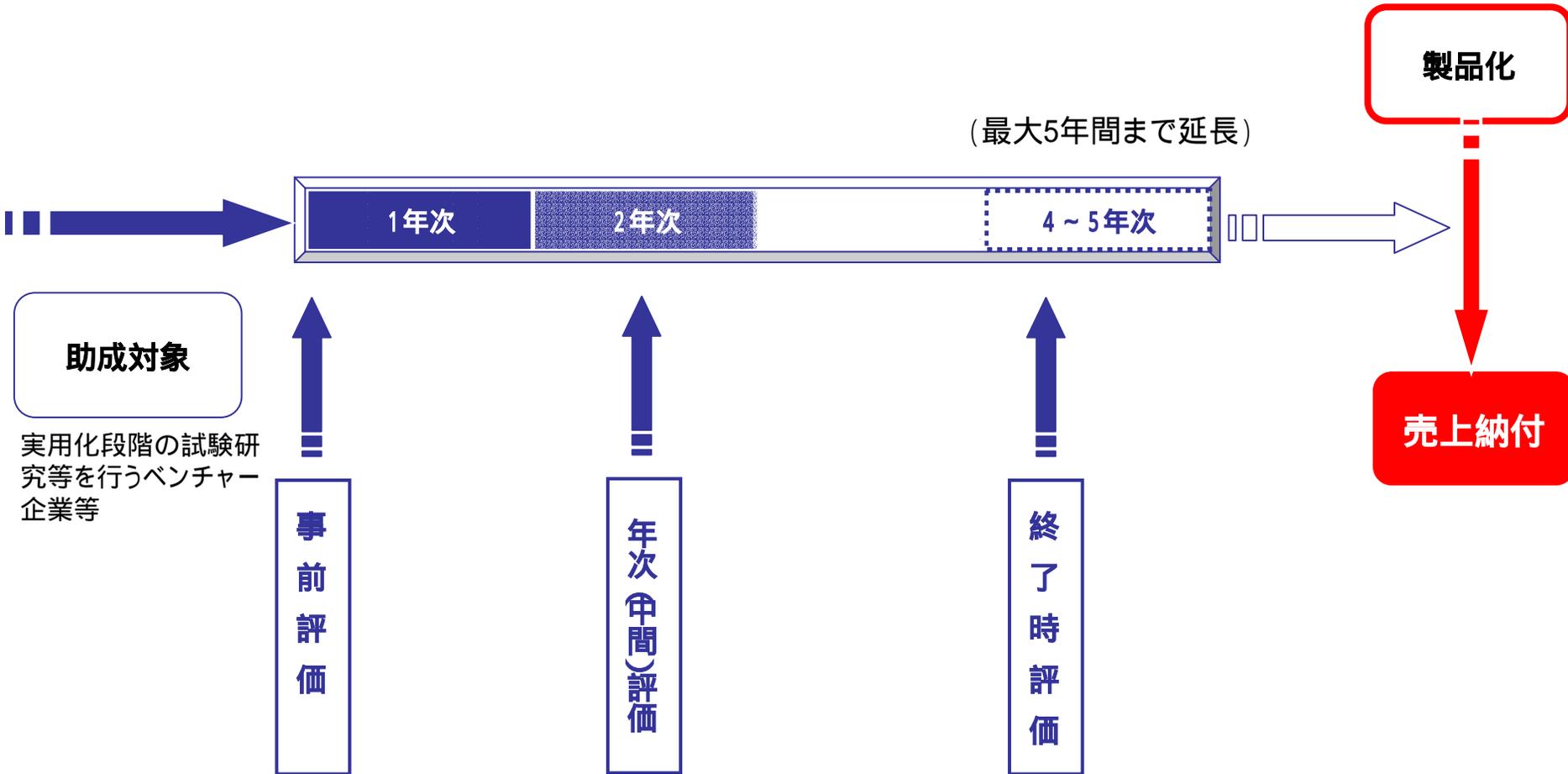
技術だけでなく、経営面、知財面についても専門家により評価

プロジェクトの進行管理

プロジェクトの進行状況の把握と製造承認取得に向けた技術指導の強化

中間(年次)評価による研究計画の見直し

実用化研究支援事業の流れ



研究振興業務の実績

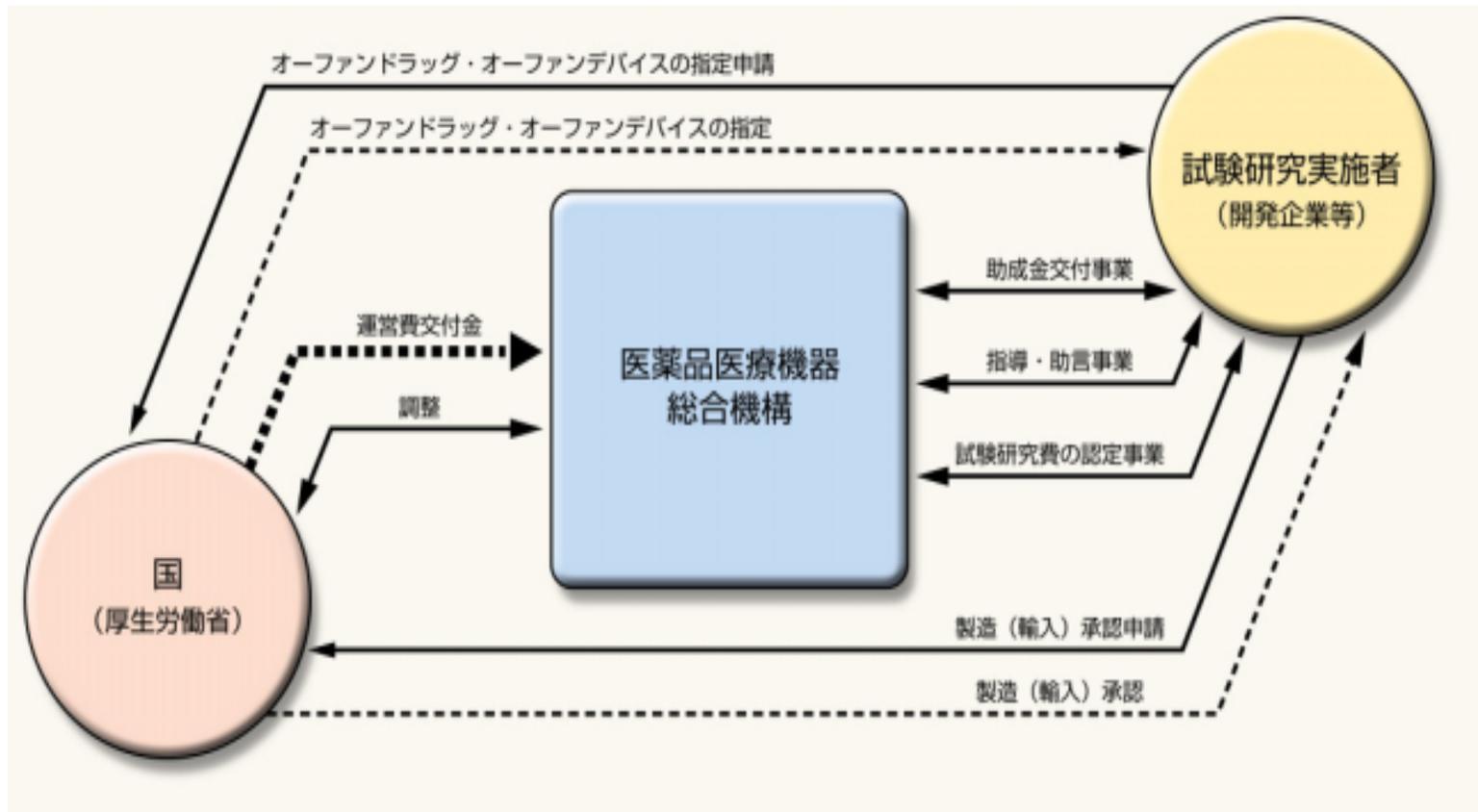
- 8月20日に「実用化研究評価委員会」を開催し、新規採択案件の評価を実施。
- 委託予定企業の研究施設等に対する実地調査を実施。
以上の結果を踏まえて、下記の5件を採択した。(5課題:5億7500万円)

研究テーマ名	企業名
転写因子NF - Bを制御する核酸医薬品のアトピー性皮膚炎治療薬としての開発	アンジェスMG株式会社
SODのDDS製剤の開発研究	株式会社LTTバイオフーマ
HLA - A24陽性術後放射線化学療法抵抗性の星細胞腫Grade3・4に対するテラーメイド癌ペプチドワクチン	株式会社グリーンペプタイド
多発性骨髄腫に対するタミバロテン(TM - 411)の臨床第 相試験	テムリック株式会社
アドレノメジュリンの臨床応用による急性心筋梗塞の治療方法の開発	ヒュービットジェノミクス株式会社

希少疾病用医薬品等開発振興業務

再生不良性貧血やエイズなどの希少疾病は、医療上の必要性は高いにもかかわらず、患者数が少ないために、疾病のメカニズムや治療に用いる医薬品・医療機器の研究が十分に進んでいない。

当機構では、これら希少疾病用医薬品・医療機器(オーファンドラッグ・オーファンデバイス)の研究開発を促進するため、助成金交付事業、指導・助言事業、および認定事業を実施。



希少疾病用医薬品等開発振興業務の実績

(1) 助成金交付に関する事務手続き

助成金交付に係る事務手続きについて、開発企業を対象とした説明会を5月19日に実施。その後、助成金交付申請書を受け付け、申請者からのヒアリング等により、申請内容について精査等を行った上で、14品目について交付決定及び支払いを行った。また年度途中に交付申請のあった4品目については3月中に支払いを行うべく手続きを進めている。

(2) 指導・助言

希少疾病用医薬品等の研究開発を行う企業に対して、試験研究の進め方や承認申請資料の整備について指導・助言を行っている。

指導・助言の上半期月別実績

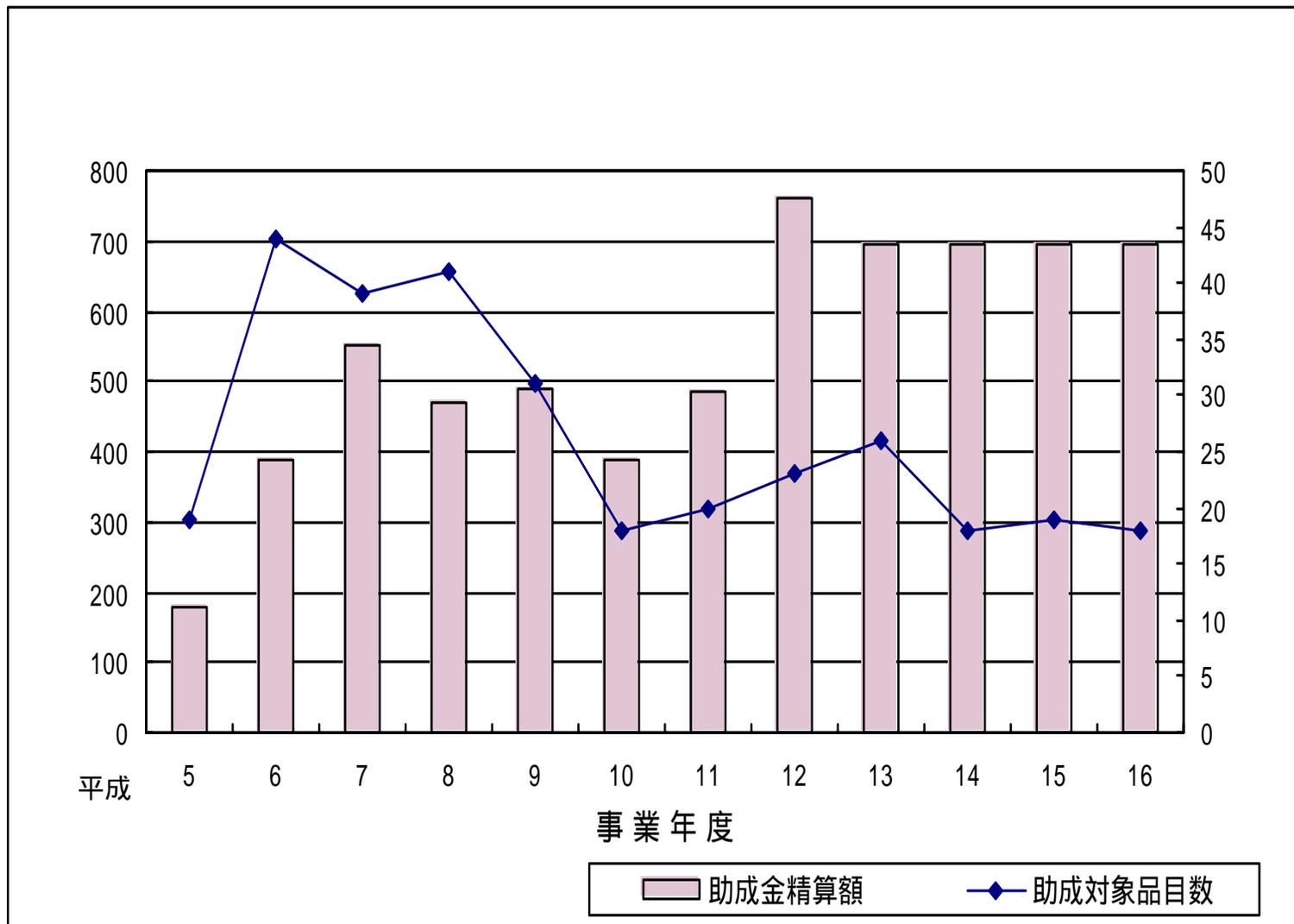
平成17年2月28日現在

年 月	件数	年 月	件数
平成16年4月	6	平成16年10月	7
平成16年5月	9	平成16年11月	4
平成16年6月	4	平成16年12月	8
平成16年7月	16	平成17年1月	4
平成16年8月	11	平成17年2月	5
平成16年9月	6		
合 計			80

希少疾病用医薬品等に係る助成金交付実績

助成金精算額(百万)

助成対象品目数



助成金交付後の開発状況と納付金の推移

平成17年1月31日現在

1. 助成金交付後の開発状況

助成品目総数	114
これまでに承認された品目数	57
開発中	32

2. 納付金の推移

年度	品目数	納付金(千円)
8	1	995
9	3	10,295
⋮	⋮	⋮
14	17	132,229
15	15	122,951
16	17	158,671

希少疾病用医薬品等に係る指導・助言状況

平成17年1月31日現在

