

# 課題の考え方

# 対象課題の考え方

「革新的な技術等に基づく医薬品・医療機器・再生医療製品」、又は「これら製品の実用化に結びつく技術」のいずれかのうち、今後10年間程度の間の実用化が可能なものであって、当該製品や技術に関する有効性・安全性の評価方法が国内では確立していないものを対象とする。

※ 医工連携など、学際的な連携に資する課題を優先する。

※ 個別の技術に関する有効性・安全性の評価方法を確立することにとどまらず、今後の医薬品・医療機器・再生医療製品の実用化に資する包括的な評価方法の策定を目指すものも含む。

## 今後、ガイドラインの策定が必要と想定される革新的技術等の例

- ・近年の科学技術の発達状況を踏まえ、今後、実用化が見込まれ、評価方法の策定が必要と予測される分野について例示
- ・選定課題については、必ずしもこの分野に限定されるものではなく、記載順序は優先順位を示すものではない。

### 医薬品分野

#### 【個別の技術に関する有効性・安全性の評価方法の例】

- ・ がんワクチンの臨床有効性、安全性の評価方法（ペプチドワクチンだけでなく細胞療法も含む）
- ・ 遺伝子治療薬の臨床有効性、安全性の評価方法
- ・ 核酸医薬の臨床有効性、安全性の評価方法
- ・ 腫瘍治療のための抗体薬の臨床有効性、安全性の評価方法

#### 【革新技术の実用化に資する包括的な評価方法の例】

- ・ 超微量タンパク質の構造解析を活用した治療薬の評価方法
- ・ 分子イメージング技術を活用した有効性・安全性に関する評価方法
- ・ モデリング・シミュレーションを活用したデータの評価方法
- ・ バイオマーカー等を活用した個別化医療技術の評価方法
- ・ ナノテクノロジー応用した革新的医薬品に関する評価方法
- ・ 薬剤疫学的手法を用いた医薬品の副作用情報の客観的・網羅的な評価方法

## 医療機器分野

### 【個別の技術に関する有効性・安全性の評価方法の例】

- 次世代細径内視鏡の臨床有効性、安全性の評価方法
- 次世代型手術用ロボットの評価方法
- 次世代型補助循環システムの評価方法
- 次世代型診断機器の診断精度の評価方法
- 不随機能リハビリ装置による神経機能再生の評価方法

### 【革新技術の実用化に資する包括的な評価方法の例】

- コンビネーションプロダクト、コンパニオン診断薬等を開発するための有効性及び安全性の評価方法確立のための調査研究
- 革新的医療機器に搭載されるソフトウェアの評価方法確立のための調査研究
- 革新的医療機器の有効性又は安全性評価ツール開発のための調査研究
- 革新的医療機器の有効性又は安全性の評価方法確立のための調査研究

## 再生医療分野

### 【個別の技術に関する有効性・安全性の評価方法の例】

- 再生医療製品の臨床応用に向けた評価方法

(例:角膜シート、心筋シート、培養皮膚、整形外科領域、脳卒中領域、肝硬変領域、糖尿病領域)

### 【革新技術の実用化に資する包括的な評価方法の例】

- iPS細胞を加工した製品や、iPS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
- 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・安全性の評価方法に関する評価方法

# Q & A

1. 早期・探索的臨床試験拠点、臨床研究中核病院、文科省の橋渡し拠点等も本事業に申請できますか。

→ 本事業は、革新的医薬品・医療機器・再生医療製品の安全性と有効性の評価方法の確立に資する研究を実施していただくものです。臨床研究中核病院等であっても、本事業の目的に沿う研究を実施することであれば申請は可能です。

2. 単一施設ではなく、複数施設での共同申請は可能ですか。

→ 連携を組むことは可能ですが、申請は主たる機関から行って下さい。また、申請にあたっては、各機能の役割分担、責任の所在がわかる形で資料を作成してください。

3. 関連施設(多施設共同研究)に研究費の委託は可能ですか。

→ 研究の一部を他施設の分担研究者に委託することは可能です。

4. 最初のPD、POによる評価はいつ頃実施するのでしょうか。

→ 採択後早期に、PD、POによるサイトビジットを予定しています。

5. 医療機関は申請可能ですか。

→ 研究を実施していれば可能です。

6. 補助金の使い方として、大学もしくは民間の施設や土地を使用する際の賃貸料は認められますか。

→ 事業の目的に沿った使用であれば可能です。

7. 応募書類の提出について郵送とあるが、宅配便でもよいですか。

→ 宅配便は不可ですが、一般信書便事業者又は特定信書便事業者（総務大臣の許可を受けた者）として行う信書便物の送達であれば可能です。

8. 補助期間の記載について、補助を打ち切るとあるが、1年目でも打ち切ることはいりますか。

→ 事業管理の進捗状況が不十分である場合には、1年目であっても補助を打ち切ります。

9. 研究対象の薬物・機器が企業機密に関わる場合の記載の扱いはどうなりますか。

→ 厚生労働省の職員、評価会議の構成員には守秘義務があり、資料は非公開となりますが、行政文書となりますので開示請求がある場合にはマスキングの上公開することがあります。

10. 研究機関基本情報についての基準日をご教示ください。

→ 平成24年4月1日時点をお願いいたします。

11. 事業費の対象経費のうち、『賃貸料』について、検査機器・画像診断機器等のレンタルに使用することは可能ですか。

→ 本事業の研究目的のみに使用するのであれば可能です。なお、レンタル(購入含む。)した医療機器等を用いて、診療報酬の請求はできません。

12. 支出額計と収入額計は一致するべきですか。

→ 支出の合計と収入欄の「本事業補助金」とが一致することになります。

13. 支出と収入の差額が本事業の補助額となりますか。

→ 支出の合計と本事業補助金が一致することは上記12の通りです。

他の収入額については、今後、他の競争的公的研究資金や企業から収入を得て本補助金がなくなっても本事業の自立的運営につながる体制を目指していただくことを確認するために記載してもらうものです。

14. 本補助金により非臨床試験だけでなく、臨床試験を実施することは可能ですか。

→ 可能です。ただし、大規模な比較臨床試験については本事業の趣旨からはずれますし、実際に支援できるほどの金額ではありません。

15. 本補助金により安全性データベースを構築することは可能ですか。

→ 可能です。ただし、単にデータベースを構築するだけの研究では本事業の趣旨からはずれません。データベースの作成及びその活用が革新的なシーズの評価方法の確立につながる理由を記載し、説明できなければいけません。

16. 対象課題に生物統計学的なガイドラインが例示されていませんが、研究課題とすることは可能ですか。

→ 研究課題は必ずしも対象課題のリストに限りません。ただし、研究課題は、ある程度具体的な革新的なシーズを想定しつつ(一方で個別の医薬品・医療機器・再生医療製品に限定されないように留意する必要あり)、評価方法の確立につながるものとして、その妥当性を記載し、説明できなければいけません。

17. 副総括研究代表者は、総括研究代表者と異なる機関の所属でも可能ですか。

→ 可能です。ただし、総括研究代表者と連携を密にし、成果を着実にあげ、PD、POによるサイトビジットに耐えられるようお願いいたします。

18. 例えば、ある課題の連携機関（申請機関ではない）が、別の課題で申請機関として申請することは可能ですか。

→ 可能です。ただし、ヒアリング審査でエフォートについて問われる可能性があるとともに、PD、POによるサイトビジット等で進捗が不良と指摘された場合、補助金が打ち切られることもあり得ます。

19. 同一法人内に研究所や複数の病院が併設されている場合、研究所や個別の病院がそれぞれ独立した研究機関として複数の課題で申請を行うことは可能ですか。

→ 可能です。ただし、内容等によっては同一法人内での連携や他の機関との連携を進めることを条件として採択する場合等もあり得ることに留意してください。類似したテーマが各研究機関で想定される場合、事前に研究機関同士で自ら調整することが望ましいと考えます。また、ヒアリング後、複数の研究機関で点数にほとんど差がない場合、評価委員会が採択となった研究機関、不採択となった研究機関に連携をすすめることもあり得ます。

20. 事業実施機関からPMDAやNIHSへ職員の派遣等を行う場合、どのような形態を想定していますか。

→ 事業実施機関によって、職員の派遣等の仕組みが異なると思いますので、課題選定後に、個別にPMDA又はNIHSと相談して、転籍出向・在籍出向・派遣等の人材交流が可能となる方法により、出勤日や給与等も含め決定してもらうこととなります。

21. PMDA又はNIHSに研究者を派遣等する場合、研究機関を辞職又は休職する必要がありますか。

また、職員(常勤ポスト)として採用されますか。

→ 採択後に具体的に協議していただくことは前述のとおりですが、派遣等には在籍出向や非常勤(週に数日勤務)などの勤務形態も考えられますので、必ずしも辞職又は休職する必要はありません。

また、常勤ポストか否かについても同様に採択後の協議となります。

**22. 給料はどちらから支払うのでしょうか。**

→ 給与も採択後の具体的協議ということになりますが、勤務形態等を考慮し決定していただくことになります。

なお、PMDAの審査官等が出向退職し、研究機関で常勤職員として採用された場合、当該補助金で人件費を支払うことは可能です。

**23. PMDAとNIHSの両方と連携して申請することは可能でしょうか。**

→ 可能です。自由様式の体制図に連携内容、役割分担等を具体的に記載してください。なお様式2の4. 大学等に出向中または出向予定等のPMDA・NIHSの分担研究者の記載欄には連携の主たる方を記載してください。

**24. PMDA等に派遣する候補が複数名いますが、全員分記載することは可能でしょうか。**

→ 可能です。その場合は、様式2の3. 大学等事業実施研究機関に所属し、当該事業の実施にあたって、PMDA又はNIHSに派遣される予定の研究者の記載欄を増やして記載してください。

25. 様式2の最初に「当該事業に従事する研究者(代表者3名を記載)」とあるが、代表者3名の3人目は誰のことでしょうか。

→ 様式2の「4. 大学等に出向中または出向予定等のPMDA・NIHSの分担研究者」のことです。

26. 体外診断薬は医薬品でしょうか、医療機器でしょうか。再生医療と医療機器のコンビネーション製品はどうしたらよいでしょうか。

→ 体外診断薬は医療機器の区分として申請してください。コンビネーション製品についてはどちらが主体かを考慮して、申請者側で決めて記載してください。

27. 本事業の申請者は、総括代表者(当該事業の進捗管理者)になるのでしょうか。

→ その通りです。PD、POのサイトビジットの前に、申請者となる研究機関の長自らが本事業の進捗管理の評価を実施していただく必要があります。

28. 学会主導でガイドラインを作成しているが、学会長が申請することになるのでしょうか。

→ 学会単位で申請するのではなく、研究機関単位で申請してください。なお、当該事業のガイドラインは診療ガイドラインは対象になりませんので、留意してください。経済産業省が主導している医療機器開発のガイドラインとも重複しないようにお願いします。

29. 改良型の医療機器のガイドラインを検討していますが、あまり革新的ではないように思っています。事業の対象になり得るでしょうか。

→ 革新的な医療機器と評価委員会で評価されなければ対象になりません。作成済み又は作成中のガイドラインは対象になりませんので、ご留意ください。

30. 総括研究代表者が総括代表者(当該事業の進捗管理者)を兼ねることは可能でしょうか。

→ 可能です。ただし、総括代表者となる研究機関の長自らが総括研究代表者を兼ねた場合、研究機関のマネジメントと研究を両立できるか、本事業の進捗管理の評価を適切に実施できるか、留意していただく必要があります。

**31. GMPなど品質管理に関するガイドラインも対象になるでしょうか。**

→ 対象になります。

**32. 様式2の「4. 大学等に出向中または出向予定等のPMDA・NIHSの分担研究者」ですが、業務内容の記載欄にはPMDA又はNIHSでの業務内容を記載するのでしょうか。**

→ その通りです。

**33. 本事業で、臨床評価のための医師主導治験の治験審査委員会又は臨床研究の倫理審査委員会の事務的経費に使用することは可能でしょうか。**

→ 可能です。ただし、他の補助事業と重複がないように留意するとともに、当該医師主導治験又は臨床研究の成果が革新的医薬品・医療機器・再生医療製品の安全性と有効性の評価方法の確立に資することが求められます。