

希少疾病(オーファン)治験ウェブ

<http://www.nibio.go.jp/orphan/index.html>

研究会設置と運用開始まで

希少疾病用医薬品及び希少疾病用医療機器の治験情報をインターネットで公開することによって、患者は治験に参加できる医療機関の情報が得られ、治験を実施する医療機関は治験の迅速化を進めることが期待できる。そうしたなかで、新たな医薬品及び医療機器の開発が促進される可能性があるにもかかわらず、患者や医療機関に分かりやすく使いやすい形での治験情報の公開は必ずしも進んでいない。

設 置

治験情報公開の
問題点の整理、
解決策の検討

希少疾病用医薬品及び希少疾病用医療機器の治験を円滑に進めるための研究会

(構成員)

赤堀 真 日本医療機器産業連合会GCP委員会委員長
伊藤 哲夫 大阪医薬品協会常務理事
◎北村 惣一郎 医薬基盤研究所プログラムディレクター
北村 聖 難病医学研究財団理事
○楠岡 英雄 国立病院機構 大阪医療センター 院長
吉田 博明 日本製薬工業協会研究振興部長
◎:座長 ○:座長代理

(参考人)

森 幸子 日本難病・疾病団体協議会 副代表理事

(オブザーバー)

厚生労働省健康局疾病対策課
厚生労働省医政局研究開発振興課治験推進室

(協力者)

大阪医薬品協会

第1回

平成23年9月29日

第2回

平成23年11月1日

第3回

平成23年12月21日

研究会報告

医薬基盤研究所が疾患領域別ポータルサイトとして、開発企業の協力を得て、患者さん及び医療機関に治験情報を公開して、希少疾病用医薬品及び希少疾病用医療機器の開発促進を図ることは意義のあることであり、協力が得られる範囲から取り組んでいくことが望ましい。

例えば、第一段階として助成金を交付している開発企業に協力を呼びかけ、一定の実績を積んだ後、厚生労働大臣の指定したその他の開発企業に対象を広げていくことが考えられる。

また、希少疾病用医薬品及び希少疾病用医療機器に対応したポータルサイトとし、関係機関、先行ポータルサイトの協力を得て全体として充実した治験情報の公開ができるよう立ち上げ後も継続して改善及び改良を加えていく必要がある。

研究会では、登録及び公開内容について幾つかの論点について整理を行った上で、別添資料のとおり試作品を作成した。

今後は希少疾病用医薬品及び希少疾病用医療機器の開発企業の協力を得て、早期にポータルサイトを立ち上げることを期待する。

希少疾病(オーファン)治験ウェブ

<http://www.nibio.go.jp/orphan/index.html>

公開とその反響

希少疾病医薬品及び希少疾病医療機器の治験を円滑に進めるための研究会の報告をふまえ、平成24年3月、希少疾病(オーファン)治験ウェブを公開した。

社団法人日本医師会治験推進センターなど外部機関のウェブサイトとのリンクなど、患者の目線に立ったウェブの運営を行うことで関係機関からも期待されており、平成24年3月末時点の当ウェブサイト訪問者数は約2,500人にのぼっている。



平成24年3月30日文部科学省・厚生労働省「臨床研究・治験活性化5か年計画2012」において当ウェブについて言及！

(希少・難治性疾患等の治験に関する情報提供)

特に希少・難治性疾患等については、国立保健医療科学院の臨床研究(試験)情報検索ポータルサイトだけでなく、独立行政法人医薬基盤研究所のウェブサイトや公益財団法人難病情報センターのウェブサイト等においても、関係企業の協力を得て現在実施中の治験の情報提供を行う等、国民・患者目線に立った情報提供の在り方について検討を進める。

評価の
視点

助成金交付品目について、企業に対し開発状況の報告を求め、助成終了後も製造販売承認までの状況を把握しているか。

指定状況(平成5年度～平成23年度)

希少疾病用医薬品	269品目
希少疾病用医療機器	23品目

助成金交付品目総数

希少疾病用医薬品	139品目
希少疾病用医療機器	12品目

そのうち、これまでに承認された品目数

希少疾病用医薬品	89品目
希少疾病用医療機器	4品目

平成23年度助成金交付品目数及び交付額

希少疾病用医薬品	10品目 (新規3品目)	619,957,000円
希少疾病用医療機器	2品目	27,349,000円
合計		647,306,000円

希少疾病用医薬品等 開発振興事業

助成金交付終了品目における直近2年間の承認取得

平成22年度、平成23年度の製造販売承認医薬品(黄色:平成22年度承認、橙色:平成23年度承認)

指定番号	助成年度	販売名	効能・効果又は使用目的	開発企業名
(18薬)第187号	平成18年度、 平成19年度	沈降インフルエンザワクチンH5N1「化血研」	新型インフルエンザ(H5N1)の予防	一般財団法人化学及血清療法研究所
(19薬)第197号	平成19年度、 平成20年度、 平成21年度	レボレード錠12.5mg、 レボレード錠25mg	慢性特発性血小板減少性紫斑病	グラクソ・スミスクライン(株)
(19薬)第200号	平成19年度、 平成20年度、 平成21年度	ヴオリブリス錠2.5mg	肺動脈性肺高血圧症	グラクソ・スミスクライン(株)
(19機)第13号	平成19年度、 平成20年度	植込み型補助人工心臓 EVAHEART	心臓移植適応の重症心不全患者で、薬物療法や体外式補助人工心臓などの補助循環法によっても継続した代償不全に陥っており、かつ、心臓移植以外には救命が困難と考えられる症例に対して、心臓移植までの循環改善に使用される。	(株)サンメディカル技術研究所
(22機)第21号	平成22年度	胎児シャント	胎児胸水に対し、胸腔穿刺術が奏効しなかった場合に、胸水を羊水腔に持続的に排出することを目的とする。	(株)八光
(22薬)第232号	平成22年度	ポテリジオ点滴静注 20mg	再発又は難治性のCCR4陽性の成人T細胞白血病リンパ腫	協和発酵キリン(株)

希少疾病用医薬品等 開発振興事業

平成23年度に製造販売承認を受けた オーファンドラッグから(報道発表資料)



国内推定患者数1,800から2,200人とされる 成人T細胞白血病リンパ腫(ATL)の治療薬(平成24年3月30日承認)

成人T細胞白血病リンパ腫(ATL)はレトロウイルスHTLV- I 感染を原因とする末梢性T細胞リンパ腫の一種で、末梢血の異常リンパ球増加、リンパ節腫脹又は皮疹等の節外性病変を認める疾患です。また、ATL患者さんの多くに腫瘍細胞上にCC chemokine receptor(CCR)4の発現が認められます。

治療には、これまで抗がん剤を複数併用する化学療法(mLSG15療法等)が用いられていますが、今回はその化学療法では、効き目が十分でない、又は再発した患者さんに使用するという目的で製造販売承認に至りました。

なお、ATLと診断されて初めての治療を受ける患者さんにおいて、mLSG15療法と併用する方法の開発が並行して進められていて、基盤研が助成しています。

(同時資料提供)
厚生労働記者会
厚生日比谷クラブ
本町記者会
大学・科学記者クラブ
大阪府庁薬業記者会



平成 24 年 3 月 30 日
照会先：独立行政法人医薬基盤研究所
大阪府茨木市彩都あさぎ 7-6-8
研究振興部希少疾病用医薬品等開発振興課
電話：072-641-9804
戦略企画部 電話：072-641-9832

希少疾病用医薬品・希少疾病用医療機器開発振興事業で支援した
オーファンドラッグが
医薬品の承認を受けました！！
—ポテリジオ点滴静注 20mg—

独立行政法人医薬基盤研究所（大阪府茨木市、以下「基盤研」という。）では、設立当初（平成 17 年 4 月）より、オーファンドラッグやオーファンデバイス※1を対象とした「希少疾病用医薬品・希少疾病用医療機器開発振興事業」※2を行ってまいりましたが、この度、同事業で支援したオーファンドラッグ 1 件が厚生労働大臣から医薬品としての承認（薬事法の製造販売承認）を受けましたので、お知らせいたします。

- 販売名 ポテリジオ点滴静注 20mg
- 一般名 モガムリズマブ（遺伝子組換え）
- 承認日 平成 24 年 3 月 30 日
- 効能・効果 再発又は難治性のCCR4陽性の成人T細胞白血病リンパ腫※3
- 製造販売業者 協和发酵キリン株式会社
- 希少疾病用医薬品の指定番号（厚生労働省）
(22 病) 第 232 号（平成 22 年 8 月 11 日指定）
- 指定時の名称 KW-0761
- 基盤研による助成金交付年度 平成 22 年度

※1 オーファンドラッグ、オーファンデバイスとは
難治性疾患やエイズ等の医薬品、植込み型補助人工心臓等の医療機器は、医療上の必要性が高いにもかかわらず、患者数が少ないとから研究開発投資の回収が困難なため、開発がなかなか進まないのが現状です。このような医薬品、医療機器をオーファンドラッグ、オーファンデバイスと呼びます。

※2 希少疾病用医薬品・希少疾病用医療機器開発振興事業とは
基盤研では厚生労働大臣から「希少疾病用医薬品」又は「希少疾病用医療機器」の指定を受けたオーファンドラッグ、オーファンデバイスの開発企業を対象に以下の開発振興事業を実施しています。

- ① 助成金交付 指定を受けた開発企業の助成金交付申請に対し、その試験研究に必要な経費に充てるための助成金を交付しています。

希少疾病用医薬品等開発振興事業

平成22年度に製造販売承認を受けた オーファンデバイスから(報道発表資料)(参考)

(同時資料提供)
厚生労働記者会
厚生日比谷クラブ
本町記者会
大学・科学記者クラブ
大阪府庁業記者会

平成 22 年 12 月 10 日
照会先：独立行政法人医薬基盤研究所
大阪府茨木市彩都あさぎ 7-6-8
研究振興部 希少疾病用医薬品等開発振興課
電話：072-641-9804
戦略企画部 電話：072-641-9832



希少疾病用医薬品等開発振興事業で支援した

オーファンドラッグ（オーファンデバイス）が
医療機器の承認を受けました！！
—植込み型補助人工心臓 EVAHEART—

独立行政法人医薬基盤研究所（大阪府茨木市、以下「基盤研」という。）では、設立当初（平成 17 年 4 月）より、オーファンドラッグ^{#1}を対象とした「希少疾病用医薬品等開発振興事業」^{#2}を行ってまいりましたが、この度、同事業で支援したオーファンデバイス 1 件が厚生労働省より医療機器としての承認（薬事法の製造販売承認）を受けましたので、お知らせいたします。

植込み型補助人工心臓システム^{#3}
○販売名 植込み型補助人工心臓 EVAHEART
○一般名 植込み型補助人工心臓システム
○承認日 平成 22 年 12 月 8 日
○使用目的 本品は、心臓移植適応の重症心不全患者で、薬物療法や体外式補助人工心臓などの補助循環法によっても継続した代償不全に陥っており、かつ、心臓移植以外には救命が困難と考えられる症例に対して、心臓移植までの循環改善に使用される。

○製造販売業者 株式会社サンメディカル技術研究所
○オーファンドラッグ指定番号（厚生労働省）
(19 機)第 13 号（平成 19 年 7 月 6 日指定）
○指定時の名称 植込み型補助人工心臓システム
○基盤研による助成金交付年度 平成 19、20 年度

※ 1 オーファンドラッグとは
難治性疾患やエイズ等の医薬品、植込み型補助人工心臓等の医療機器は、医療上の必要性が高いにもかかわらず、患者数が少ないことから研究開発投資の回収が困難なため、開発がなかなか進まないのが現状です。このような医薬品、医療機器をオーファンドラッグ（Orphan Drug）といいます。また、これらのうち医療機器のことをオーファンデバイスと呼ぶこともあります。

日本人の小柄な体格に適合し、自宅療養を可能とする
小型・高性能の次世代型の植え込み型補助人工心臓



アウトフローグラフト

インフローカニューレ

血液ポンプ

コントローラ

希少疾病用医薬品等 開発振興事業

納付金徴収事業

徴収の目的

基盤研が実施する希少疾病用医薬品等の開発振興業務に充てるため、希少疾病用医薬品、希少疾
病用医療機器の利用により開発企業が得た収益(売上高)の一部を納付金として徴収します。

納付金の額

前事業年度における希少疾病用医薬品又は希少疾病用医療機器の売上高につき、次の算式により
算定した額とします。(事業年度の納付金合計額は 助成金合計額をもって限度とします。)

$$\text{納付金} = (\text{売上高} - 1\text{億円}) \div 100$$

但し、売上高が1億円以下の場合は、納付金は0円とする。

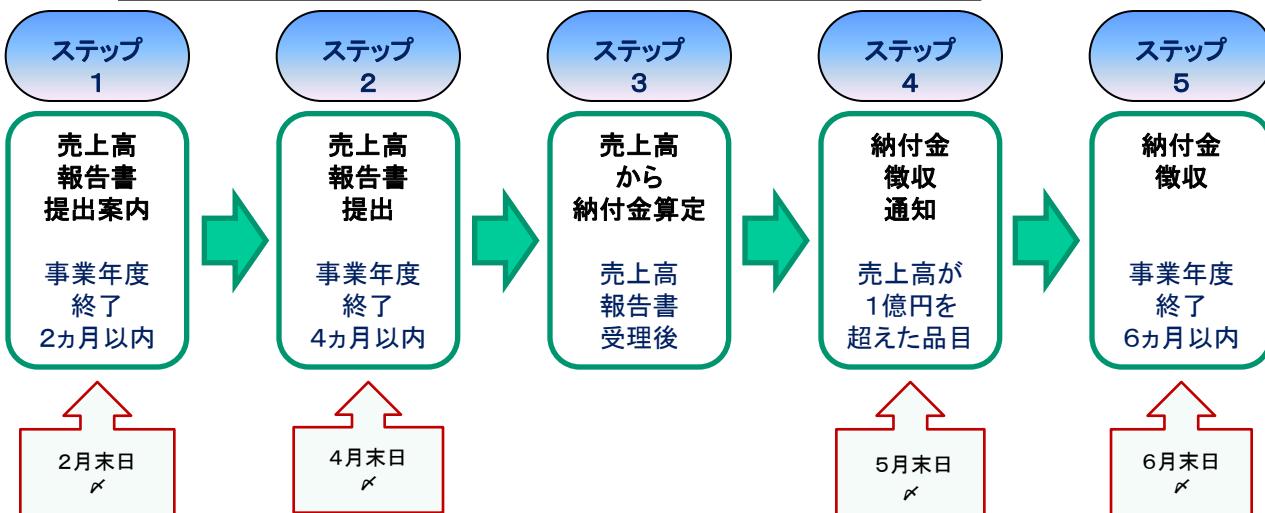
徴収期間

希少疾病用医薬品、又は希少疾病用医療機器の製造販売承認を受けた日から10年間とします。

納付金徴収スケジュール

EXAMPLE

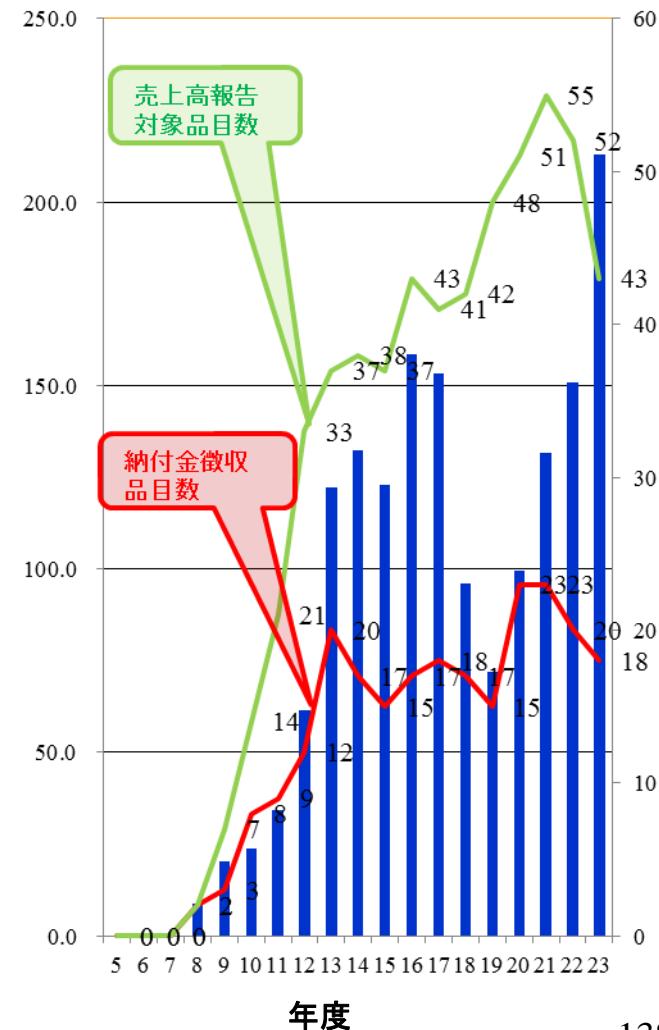
12月決算の開発企業(平成24年4月現在 16品目)



納付金徴収額の推移

合計額(百万円)

品目数



実用化研究支援事業

- ◆ 国民の健康の保持増進に役立つ画期的な医薬品・医療機器のベンチャー企業による実用化段階における研究を支援する事業。
平成21年度より、繰越欠損金の拡大を抑えるべきとの指摘を踏まえ、新規案件の採択を休止している。
- 平成16年度から平成22年度までに19件に委託
- 研究テーマの評価では、技術面だけでなく事業化の可能性についても重視
- 研究成果による収益が出れば、本業務の寄与度に応じて基盤研に納付させる仕組み
- 医薬品の開発には長期間を要するため、研究期間中は収益が出ず、委託費相当額が自動的に欠損金として計上される仕組みとなっており、平成23年度末で65億4千7百万円（速報値）の繰越欠損金が計上されている。

採択件数

- 平成16年度 5件：転写因子NF-kB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 他
- 平成17年度 3件：間葉系細胞を用いた骨再生材料の開発 他
- 平成18年度 4件：論理的分子設計に基づく難治性肺疾患治療薬の開発 他
- 平成19年度 4件：5-HT3受容体パーシャルアゴニストの過敏性腸症候群治療薬としての開発 他
- 平成20年度 3件：免疫制御技術を用いた新規免疫抑制剤の開発 他

事業の成果

委託期間中又は委託期間終了後に治験開始に至ったもの：14件これまで、平成21年度に収益が得られた案件を1件（750万円）確保し、平成23年度に3件（納付金額調整中）確保した。

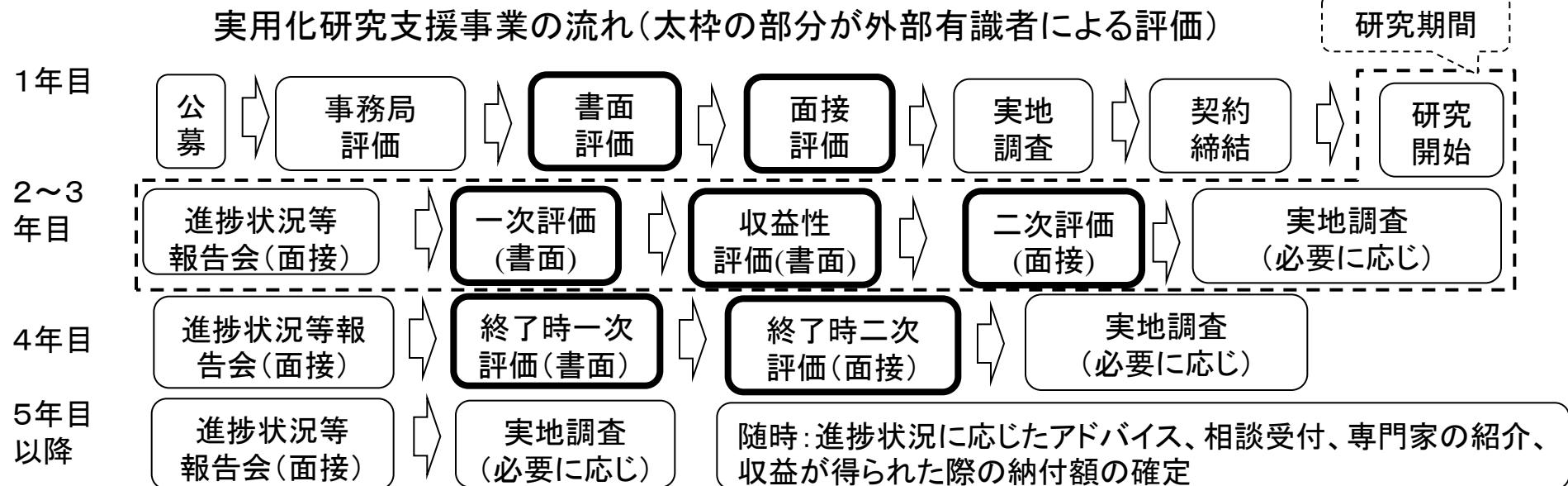
数値目標

外部専門家、プログラムオフィサー等を活用した指導・助言を行い、中期目標期間中に研究成果による収益が見込まれる案件の5件確保を目指していること。

実用化研究支援事業では、平成23年度中に既採択案件のうち3件で事業者が収益を得ていることを確認。今後、協議の上、当所への納付額を確定させる予定。

承継事業の出資事業では、導出先企業において商品化されたものがあったことなどから、平成23年度中に、出資法人1社が収益を得ている。今後、出資法人の財務状況を踏まえた上で、当所への納付について協議を行う予定。

実用化研究支援事業



評価の視点

- ・プログラムオフィサー等を活用し、研究開発の進捗管理等が適切に行われているか。
- ・外部専門家等の活用により、実効性のある評価が実施されているか。
- ・適正な評価体制の構築を図るため、事業化計画等の適正な評価項目が設定されているか。

①研究開発の指導・管理体制の構築

プログラムオフィサー等の参加する進捗状況等報告会で報告を求め、研究開発の進捗状況を把握。

②外部評価委員による評価の実施

20年度採択分の終了時評価については、一次評価(書面評価)、二次評価(面接審査)を、外部有識者で構成する実用化研究評価委員会で実施した。

③評価項目の設定

研究計画の達成度、今後の研究計画の妥当性、研究継続能力、実用化計画の妥当性などの評価項目を設定するとともに、項目間のウェート付けを行った。

評価の
視点

実用化研究支援事業の在り方の見直しは行われているか。

平成23年度から廃止とした。

評価の
視点

- ・外部専門家、プログラムオフィサー等による年次評価、終了時評価、終了後のフォローアップが適切に行われているか。
- ・欠損金の減少に向けた検討を行うとともに、進捗状況のフォローにより、研究成果の早期実用化に向けた指導・助言が行われているか。

- ①実用化研究支援事業の平成20年度採択分3課題の終了時評価については、外部有識者で構成する専門委員及び委員により、今後の研究計画の妥当性、研究継続能力、実用化計画の妥当性などの適切な評価項目に基づいた評価を実施した。また、これら3課題について、事業者への訪問を行い、担当者から聞き取りを行うとともに、事業者に協力を行っている外部専門家の訪問を行い、課題の進捗状況、問題点の把握に努めた。
- ②既採択案件について、プログラムオフィサー等による進捗状況等報告会を全ての既採択案件に対し実施し、研究の進捗状況等を把握するとともに、指導・助言を行った。
- ③事業者が開発の方向性について独立行政法人医薬品医療機器総合機構に相談を行う際に、本研究所の職員が同席し、事業者を支援した。
- ④平成24年3月6日に繰越欠損金に関する計画策定委員会において繰越欠損金減少に向けた検討を行い、早期実用化に向けた継続性のある指導・助言を行うこととした。

実用化研究支援事業採択案件 1

臨 床 試 験

採択
年度

研究テーマ名

非臨床試験

第Ⅰ相

第Ⅱ相

第Ⅲ相

申請 承認

SODのDDS製剤の開発研究

LTT

多発性骨髓腫に対するタミバロテン(TM-411)の臨床第Ⅱ相試験

テムリック

転写因子NF-κB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

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

グリーン
ペプチド

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疗方法の開発

ヒュービット
ジェノミクス

角膜上皮幹細胞疲弊症治療を目的とした再生角膜上皮シートの実用化研究

セルシート

臨 床 試 験

16

17

→ 採択前
→ 採択後～22年度
→ 23年度

実用化研究支援事業採択案件 2

臨 床 試 験

採択
年度

研究テーマ名

非臨床試験

第Ⅰ相

第Ⅱ相

第Ⅲ相

申請 承認

17

救急救命および酸素治療のための次世代「酸素輸液」の開発

オキシ
ジェニクス

会社解散により開発中止

間葉系細胞を用いた骨再生材料の開発

アルプラス

会社解散により開発中止

理論的分子設計に基づく難治性肺疾患治療薬の開発

医薬分子
設計研究所

高リン血症治療薬の開発

ジェイファーマ

新規プラチナ系高分子ナノ粒子製剤の固形がん治療薬としての開発

ナノキャリア

インクジェット粉末積層造形による移植用カスタムメイド人工骨(医療機器)

ネクスト21

採択前
採択後～22年度
23年度

18

実用化研究支援事業採択案件 3

臨 床 試 験

採択
年度

研究テーマ名

非臨床試験

第Ⅰ相

第Ⅱ相

第Ⅲ相

申請 承認

5-HT3受容体パーシャルアゴニストの過敏性腸症候群治療薬としての開発

Lotus



多発性硬化症に対するアブタマ-RNA新薬の臨床開発

リボミック



組換えHGFタンパク質を用いた難治性神経疾患治療薬の開発

クリングル
ファーマ



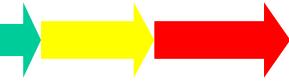
アルガトロバンを溶出制御した新規冠状動脈用ステントの臨床研究

日本ステント
テクノロジー



免疫制御技術を用いた新規免疫抑制剤の開発

レグイミュージ



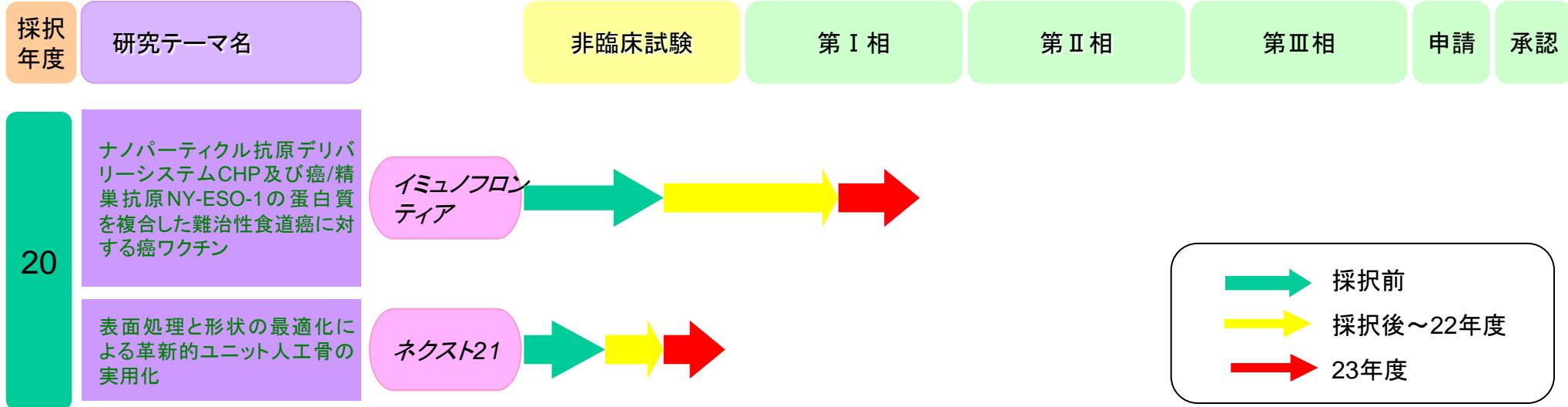
→ 採択前
→ 採択後～22年度
→ 23年度

19

20

実用化研究支援事業採択案件 4

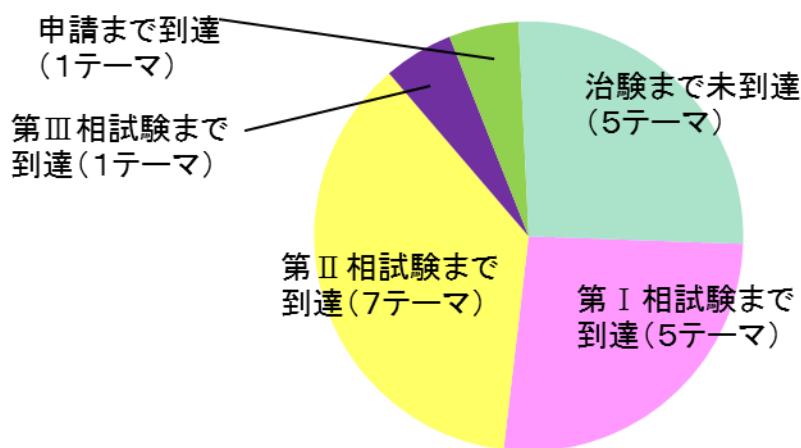
臨 床 試 験



採択された19プロジェクトのうち14プロジェクトでヒトでの臨床試験(治験)が実施されている。

約74%という高い割合でヒトでの臨床試験(治験)まで開発が進捗している。

各プロジェクトの到達段階



平成23年度の実用化研究支援事業の動き

- ・ 進捗状況等報告会の開催(5/26, 6/2, 6/6, 6/10, 6/13 :所内)
- ・ 評価委員会の開催(8/9 :東京)

◆当事業に関連した研究の報道等

アンジェス : 他社の製剤技術の使用権獲得(平成23年4月)

グリーンペプタイド : 癌ワクチン療法、科学技術振興機構が臨床試験を支援
(平成23年10月)

セルシード : 角膜再生上皮シートを欧州で承認申請(平成23年6月)

ナノキャリア : 癌新薬治験費用37億円調達(平成24年3月)

クリングルファーマ : ALS新薬臨床試験へ(平成23年7月)

レグイミューン : 米国で治験開始(平成24年1月)

イミュノフロンティア : 癌ワクチン 第Ⅰ相終了 ライセンス譲渡前進
(平成24年2月)

承認申請に至った例(欧州)



平成 23 年 6 月 8 日

各位

会社名 株式会社セルシード
代表者氏名 代表取締役社長 長谷川 幸雄
(コード番号 : 7776)
本店所在地 東京都新宿区若松町 33-8
問合せ先 取締役最高責任者管理部門長 細野 恒史
電話番号 03-5286-6231

角膜再生上皮シート欧州販売承認申請提出のお知らせ

この度当社は欧州における角膜再生上皮シート販売承認の取得を得るために欧州医薬品庁宛に販売承認申請を提出し、欧州医薬品庁よりその受領確認を得ましたのでお知らせいたします。

当社は、「細胞シート再生医療事業」として、日本発の再生医療プラットフォーム技術である「細胞シート工学」に基づき組織や臓器を再生することによって様々な疾患や損傷を治療する「細胞シート再生医療」の事業化に取り組んでおります。現在当社は5つの細胞シート再生医療医薬品候補の研究開発を推進しておりますが、角膜再生上皮シートはその中で最も事業化に近い段階にあるものです。

角膜再生上皮シートにつきましては、平成 19 年にフランス・リヨン国立病院における治験を開始して以来、欧州における事業化を目指した準備活動を推進しております。

一般的に医薬品の販売には各国薬事規制当局の承認が必要であり、この承認の取得にあたっては適応症患者さまを対象とした治験のデータや製品製造工程に関するデータなど様々な科学的根拠に基づいて当該製品の安全性及び有効性を示すことが求められます。このため、当社は平成 19 年 9 月よりリヨン国立病院において重度の角膜再生上皮幹細胞疲弊症を適応症とする治験を実施し、その報告書を今般の承認申請書類の一部として提出いたしました。また、リヨン国立病院における治験の実施と並行して、角膜再生上皮シート製造体制の構築や承認申請に必要な非臨床試験データの整備などに努めてまいりました。なお、今般の承認申請提出に先立ち、製造委託先における基本的な製造準備が終了しております。

欧州（EU=欧州連合）の薬事規制において再生医療製品は従来型医薬品や従来型医療機器と区別して「先端医療医薬品（Advanced Therapy Medicinal Product）」に分類されており、その薬事審査は EU 加盟各の薬事規制当局ではなく EU レベルの薬事行政を司る欧州医薬品庁が担当しております。欧州医薬品庁の薬事審査において対象疾患に関する安全性・有効性を認められた医薬品候補は最終的に欧州委員会の販売承認を取得することになりますが、この欧州委員会の販売承認は EU 加盟国を中心とする欧州 30ヶ国において正式な薬事承認としての効力を有します。従いまして、角膜再生上皮シートが欧州委員会の販売承認を得た場合、欧州 30ヶ国で正式な医薬品として取り扱われることとなります。当社は、平成 20 年 2 月に実施した初回面談を皮切りとして、上述のような様々な準備作業を進める傍ら欧州医薬品庁との事前相談を積み重ねながら、今般の承認申請書類提出へ向けた準備を進めてまいりました。

当社で確認できる限りでは、本件は日本企業が海外先進国で再生医療製品に関する薬事承認申

角膜再生上皮シートに関する 事業者のプレスリリース (平成23年6月)

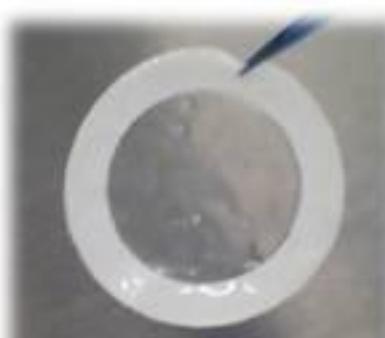
請を提出した初めてのケースであり、また欧州医薬品庁が受け付けた再生医療製品に関する薬事承認申請としても最も早い例の 1 つであると見られます。

なお今般の承認申請提出に至る準備の過程では患者さま各位、共同研究先各位、事業提携先各位より多大なご協力を頂いており、株主各位の長期間にわたるご理解とご支援が準備活動推進に不可欠な支えとなりました。また角膜再生上皮シートの研究開発は独立行政法人医薬基盤研究所の「医薬品・医療機器実用化研究支援事業」の委託事業に採択され、平成 17 年から同 20 年にかけて研究所のご支援を頂きました。この場を借りて、ご協力・ご支援を賜りました全ての皆様方に厚く御礼申し上げます。

一方、今般の承認申請提出は角膜再生上皮シートの欧州販売承認取得に至る過程の途中に位置付けるものです。当社は、一日でも早く角膜再生上皮シートの事業化を実現して細胞シート再生医療の福音を一人でも多くの患者さまにお届けできるように引き続き全力で取り組んでまいります。各位におかれましては信頼のご理解とご支援を賜りますようよろしくお願い申し上げます。

なお、本件は平成 23 年 2 月 14 日付「平成 23 年 12 月期～平成 25 年 12 月期マイルストーン開示に係る事業計画について」にて公表した平成 23 年度進捗目標のうちの 1 つを計画通り達成したものであり、従って既公表済みの平成 23 年 12 月期業績予想に与える影響は軽微なものと考えております。

以上



(株)セルシード提供
(細胞シート)

承継事業(旧出融資事業)

- ◆ 医薬品副作用被害救済・研究振興調査機構(旧医薬品機構)が実施していた医薬品開発に向けた出融資事業(※)を医薬基盤研究所が承継事業として引き継ぎ、出資法人の成果管理及び貸付金回収を行っている。
- 現在存続2法人において、それぞれの成果を引き継いだ国内企業において製品化に向けた開発が行われているが、平成23年度末で255億6千7百万円(速報値)の繰越欠損金が計上されている。

※民間における医薬品・医療機器の研究開発を促進するため、旧医薬品機構において昭和62年度から平成15年度まで出融資事業を実施しており、医薬品医療機器総合機構経由で平成17年度から医薬基盤研究所が事業に係る株式及び債権を引き継いだ。

(1) 出資事業

2以上の企業により設立された15の研究開発法人に対して出資した。

(論文発表数608、特許出願件数833)

15の研究開発法人は出資期間終了後、成果管理会社に移行。

<存続法人の現状>

会社名(出資期間)	研究目的	現状
(株)創薬技術研究所 (H4.3～H11.3)	抗ウイルス薬創製のための基盤技術に関する研究開発	帯状疱疹に効果のある化合物について、開発を進めてきたが、健康新成人で行われた第Ⅱ相試験でみられた重篤な副作用を精査した結果、開発中止が決定された。管理コストを上回る収益が得られる可能性がなくなったことから、出資法人を解散整理することが株主総会で決議され、平成24年3月に清算が終了した。
(株)ディナベック研究所 (H7.3～H16.3)	遺伝子治療製剤の研究	遺伝子治療用ベクター(センタウイルスベクター他)の開発に成功。重症虚血症を対象疾患とする臨床研究を実施中。

iPS細胞作成キット

出資事業の存続法人に関連した研究の報道等

(株)ディナベック研究所の所有する特許使用許諾を得たディナベック(株)に関して、各種報道がなされている。

- ・iPS細胞作成キットを海外で発売(平成23年4月)
- ・がん治療の技術供与(平成23年6月)
- ・エイズワクチン開発国際プロジェクトへ技術供与(平成23年9月)
- ・iPS細胞で遺伝性肝臓病の遺伝子治療(平成23年10月)



評価の 視点

- ・出資法人に対し、事業状況等についての報告を求め、欠損金の減少に向けた検討を行うとともに、収益最大化のための指導を行っているか。
- ・期待される収益が管理コストを上回る可能性がないと判断された場合は、速やかに出資法人の解散整理等の措置が講じられているか。

①収益最大化のための指導の実施

- ・事業報告書、事業計画書、研究成果報告書、財務諸表等の資料を当所で内容確認を行うとともに、実地調査の実施、出資法人の株主総会等への出席等、様々な機会を捉え、現況の確認及び収益最大化のための指導・助言を行った。
- ・外部有識者である成果管理委員による面接評価に導出先企業の出席を求め、製品化に向けた開発の進行状況を踏まえ、収益最大化のための指導・助言を行った。

②繰越欠損金の減少に関する検討

成果管理委員の意見も踏まえ、出資法人が将来的に管理コストを上回る収益を上げる可能性がないと判断される場合は、速やかに解散整理等の措置を講ずることとしている。平成23年度は、(株)創薬技術研究所を清算した。

(2) 融資事業

主として応用段階からの研究開発を対象とし、我が国の保健医療上の重要課題を克服できるような具体的な成果につながることが期待される試験研究経費について、昭和63年から平成15年にかけて、**32件**融資した。

これまでに計画通り返済がなされており、平成23年9月及び平成24年3月に償還計画に沿った貸付金の回収を実施。（融資事業案件32件中、30件の回収を終えている。）

融資事業による最近の成果例

- ・自家植皮のための恵皮面積が確保できない重篤な広範囲熱傷の治療用の**自家培養表皮**について承認取得（融資期間平成11年度-平成15年度、承認取得平成19年）
- ・植込み型補助人工心臓について承認取得（融資期間平成11年度-平成15年度、承認取得平成22年）

評価の 視点

貸付金の回収について、関係規定に基づき計画的かつ確実に進められているか。

融資事業に係る貸付金の回収を計画的、かつ確実に進めた。

業務運営の効率化、財務内容の改善、 その他業務運営に関する重要事項

1. 機動的かつ効率的な業務運営
2. 業務運営の効率化に伴う経費節減等
3. 財務内容の改善
4. その他業務運営に関する重要事項
 - (1)人事に関する事項
 - (2)セキュリティの確保
 - (3)施設及び設備に関する事項

1. 機動的かつ効率的な業務運営

自己評定 A

評価の
視点

- ・理事長の経営判断が迅速に反映される組織体制の構築
- ・弾力的な人事配置、柔軟かつ効率的な組織形態の維持、業務の進捗状況の適切な管理
- ・国家公務員の再就職ポストの廃止
- ・内部統制に係る取組
- ・生命倫理・安全面に配慮した研究実施への支援
- ・中期計画及び業務計画のフォローアップ
- ・業務改善のための役職員のイニシアティブの把握・分析、評価

<23年度実績>

①業務運営体制の強化、トップマネジメント

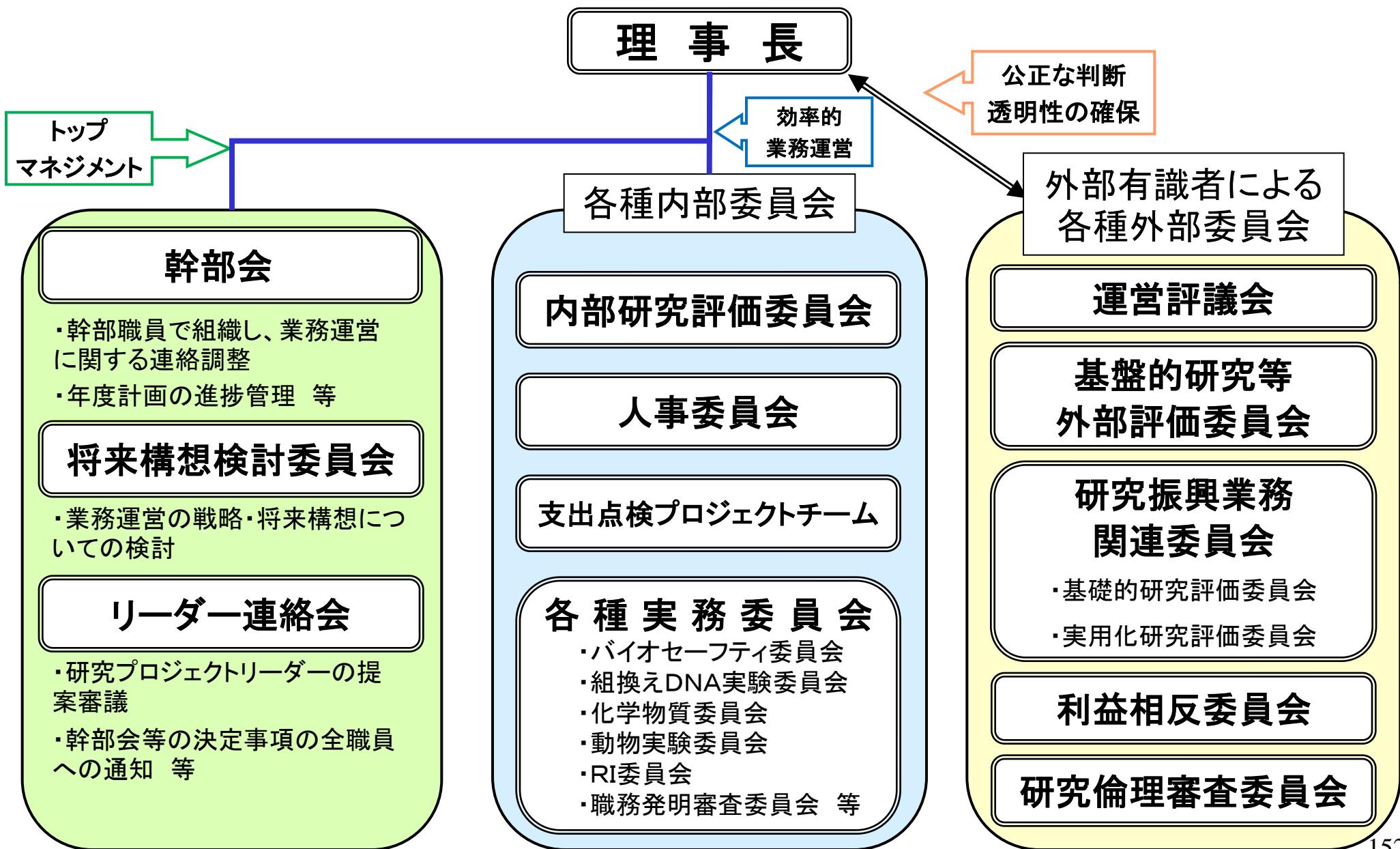
(1)「幹部会」(毎月)、「リーダー連絡会」(年9回)の開催

(2)プロジェクトチーム制による機動的な研究体制

(3)内部統制、ガバナンスの強化

1. ①業務運営体制の強化、トップマネジメント(1)「幹部会」(毎月)、「リーダー連絡会」(年9回)の開催

医薬基盤研究所における業務運営体制



1. ①業務運営体制の強化、トップマネジメント (2)プロジェクトチーム制による機動的な研究体制

