

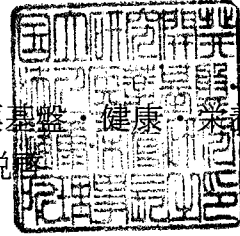
医基健発第153号

平成30年7月24日

各関係機関の長 殿

国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所

理事長 米田 悦彦



希少疾病用再生医療品等開発支援事業
開発テーマの公募について（二次募集）

時下、ますますご清栄のこととお喜び申し上げます。

弊所希少疾病用再生医療品等開発支援事業において、医薬品医療機器等法に規定する再生医療等製品の開発や臨床試験の支援を行い、新たな再生医療等製品の実用化を目指すため、希少疾病や難病等に対する再生医療品等製品の開発を目指した開発テーマを募集いたします。

本事業の概要、募集対象となるテーマ、応募資格、事業実施期間、応募の手続き等につきましては、別紙の募集要項のとおりですので、貴機関内への周知について、よろしくお願い申し上げます。

【本件担当】

住 所：大阪府茨木市彩都あさぎ7-6-8

担 当：国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所
開発振興部開発調整課 北村、太刀川

募集要項

国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所（以下「研究所」という。）が実施する「希少疾病用再生医療品等開発支援事業」では、医薬品医療機器等法（以下「薬機法」という。）に規定する再生医療等製品の開発や臨床試験の支援を行い、新たな再生医療等製品の実用化を目指すため、希少疾病や難病等に対する再生医療等製品の開発を目指した開発テーマを以下のとおり募集する。

1. 本開発支援事業の概要

薬機法において、再生医療等製品についてその特性を踏まえた安全対策等の規制を設けること、有効性が推定され安全性が認められれば特別に早期に条件及び期限を付して製造販売承認を与えることとされている。また、再生医療等安全性確保法において、再生医療等製品の迅速かつ安全な提供等を図るため、再生医療等を提供しようとする者が講ずべき措置を明らかにするとともに、特定細胞加工物の製造の許可等の制度等を定めることが規定されている。さらに、再生医療の実用化により、希少疾病や難病等のアンメットメディカルニーズに対して重点的に開発を実践していくこととされたところであり、国による本格的な取組により、再生医療分野の実用化の加速が期待されている。

特に、希少疾病分野では、他の方法では治療が難しかった疾患に対し、再生医療分野の実用化により、革新的な成果が期待されている。また、ある希少疾病に対する再生医療等製品の実用化が、患者数の多い疾患にも応用できる可能性がある。

このため、希少疾病や難病等に対する再生医療等製品を迅速かつ確実に開発できるよう、治験に近い段階の開発テーマに対して、支援を行う。

応募書類は、研究所事務局で内容を確認した後、募集対象となるテーマに該当するものについて、外部の専門家で構成される希少疾病用再生医療品等評価委員会（以下「委員会」という。）による書面評価、面接評価を実施する。委員会は、採択候補テーマを評価実施要領に基づき評価し、委員会として採択すべきと評価するテーマを選定する。開発代表者は研究所と締結する委託契約に基づき本開発支援事業を実施する。以降の開発テーマの進捗管理については、年次評価を行うとともに、事業実施期間終了後の評価を行うこととする。また、その後の成果の利活用についても継続的なフォローアップを行う。

本開発支援事業は、開発代表者に対して、成果としての知的財産権の取得や、成果の公開・普及及び利活用に積極的な役割を果たすとともに、事業終了後の一定の期間において、その成果による売上が生じた場合には、本開発支援事業の開発への寄与に応じて、売上の一部の納付を求める制度となっている。

2. 募集対象となるテーマ

希少疾病や難病等に対する再生医療等製品の開発を目指した、実用化段階（臨床現場への移行が可能な段階）のテーマであって、成果の実用化に向けた明確な計画を有するものを対象とする。

また、以下の要件を満たしていることが求められる。

- (1) 製品化しようとする再生医療等製品（開発候補品）が特定されていること。
- (2) 本開発支援事業の成果を利活用した実用化の可能性が見込まれ、かつ、上市後の収益が見込まれるものであること。なお、研究機関（国公立機関、特殊法人、国立研究開発法人等の政府等機関及び私立大学等の学校法人を含む。）に所属する開発代表者が開発するテーマの場合、企業に導出できる見込があること。
- (3) 開発候補品の実用化にあたり必要となる特許権その他これらに類する権利及びこれらを受ける権利（以下「特許権等」という。）を有している（特許権等の実施許諾を受けている場合等を含む。）等、開発候補品の実用化に向けて知的財産権の面から障害がないと考えられること。
- (4) 動物試験等の非臨床試験により、有効性のみならず安全性データについても知見が得られており、品質試験の結果も踏まえて臨床試験実施中であること。具体的には、治験が開始された段階又は臨床研究実施中で治験への移行が可能と考えられること。
- (5) 臨床試験成績に基づき、承認申請が見込まれる開発計画であること。
- (6) 開発候補品が、希少疾病や難病等に対するものであり、社会的要請を反映したものであること。

3. 応募資格

再生医療等製品の実用化段階の開発を行っている、以下の要件を全て満たす日本国内の研究開発型企業及び研究機関（国公立機関、特殊法人、国立研究開発法人等の政府等機関及び私立大学等の学校法人を含む。）を対象とする。

- (1) 本開発支援事業の遂行のために必要な経営基盤及び実施体制を有し、かつ、事業の遂行に必要な資金等の十分な管理能力を有していること。
- (2) 本開発支援事業を行う開発代表者が、事業実施期間を通じて、責任を持って、担当する業務を遂行できる者であること。
- (3) 「研究機関における公的研究費の管理・監査のガイドライン（実施基準）」（平成19年2月15日文部科学大臣決定（平成26年2月18日改正））に基づき、体制の整備その他必要な措置を講じること、及び「研究活動の不正行為への対応等に関するガイドライン」（平成26年8月26日文部科学大臣決定）に基づき、体制の整備その他必要な措置を講じていること。
- (4) 本開発支援事業の成果について、毎年度、当研究所及び委員会に適切に開示することに同意していること。

4. 事業実施期間

平成30年度とする。ただし、国の財政支出の範囲内で、平成31年度以降も継続する可能性があるが、年次フォローアップによる進捗状況及び成果等の評価により、支援を中止する可能性もある。なお、支援期間は原則最長で5年間とする。

5. 事業費

(1) 事業費の規模

事業費は、事業内容、事業実施体制、収益性等を考慮して配分する。このため、1開発テーマ当たりの事業費の規模は、年間数千万円程度を想定している。

(2) 事業費の範囲

研究所が負担する事業費の範囲は、開発テーマの遂行に直接必要な経費とする。具体的には以下のとおりとする。

①人件費

本開発支援事業において採択された開発テーマに係る開発に直接従事するため、事業を実施する受託者で雇用する者の人件費が対象となる。

②旅費

受託者で雇用する本開発支援事業に直接従事する社員等（実施計画書に掲げる者）について、開発支援事業を遂行するため、特に必要とされる旅費、滞在費等が対象となる。＊）

＊）本開発支援事業において、学会に参加するための「旅費」については、参加する学会において本開発支援事業の成果の一部もしくは全部が発表される場合以外は、経費として認められない。

③備品費

本開発支援事業の遂行に必要な機器類の購入費、製造費、改造費（設計費を含む）等が対象となる。ただし、建物の建築（改造、改修を含む。）・購入等施設に関する経費は対象とならない。

④謝金及び賃金

本開発支援事業を遂行するために、専門知識の提供、情報収集等で協力を得た者への謝礼は謝金の対象となる。また、本開発支援事業の実施にあたり、本開発支援事業に関連した業務を実施している場所に一定期間出勤して実験補助、資料整理等を行う補助者に係る経費は賃金の対象となる。

⑤消耗品費

本開発支援事業の実施に直接要する試薬、資材、部品等の消耗品の購入費が対象となる。

⑥印刷製本費

本開発支援事業を遂行するために必要となる書類等の作成に係る経費が対象となる。

⑦借料及び損料

本開発支援事業の遂行に必要な機器等のリース、レンタルに要する経費等が対象となる。

⑧会議費

本開発支援事業の遂行に必要な会議の開催に要する経費が対象となる。

⑨雑役務費

本開発支援事業に関連した外注分析に要する経費、メディカルライティング等が対象となる。

⑩再委託費

本開発支援事業に採択された開発テーマに係る業務のうち、他者にその一部を委託するための経費について計上できる。ただし、再委託は研究所の事前の承認を得なければ行うことができない。

⑪間接経費（一般管理費）

通信運搬費、光熱水料・燃料費などのうち、本開発支援事業によって発生する経費であることが明確に区分できるものが対象となる。

6. 開発テーマの選定

（1）選定の概要

本開発支援事業における採択候補テーマの有望性・成果の評価は、研究所が定める「希少疾病用再生医療品等開発支援事業に係る評価実施要領」（以下「評価実施要領」という。研究所ウェブサイト(<http://www.nibiohn.go.jp/>)上で閲覧可能）に沿って行われる。

応募書類は、研究所事務局で内容を確認した後、「2. 募集対象となるテーマ」に該当するものについて、委員会による書面評価、面接評価を実施する。委員会は、採択候補テーマを評価実施要領に基づき評価し、委員会として採択すべきと評価するテーマを選定する。

（2）応募書類の提出

採択候補テーマの書面評価は提出された応募書類に基づいて行う。理由の如何によらず、応募書類の修正・差し替え等は認めない。また、必要に応じて追加資料の提出を求めることがある。提出された書類は評価以外の目的には使用せず、応募内容についての秘密は厳守する。なお、応募書類等は返却しない。

（3）応募書類の評価

採択候補テーマは、次の専門的、技術的観点、事業性等から評価を行う。

評価事項	評価の視点
開発計画の 妥当性・実用 化の可能性	<ul style="list-style-type: none"> ・採択候補テーマの開発計画全体の中で、事業実施期間中の計画が適切なものとなっているか。 ・開発の各段階を事業実施期間中にどのように達成していくかが明確かつ適切に計画されているか。 ・有効性、安全性、品質などの見地から実用化の可能性が高いか。
実施体制 (開発能力・ 保有する開発 課題)	<ul style="list-style-type: none"> ・開発担当者の構成、施設の設備等の観点から、本開発支援事業の遂行が可能な体制となっているか。 ・医薬品・医療機器の開発経験。 ・開発候補品以外で、実用化の可能性が高い開発課題が存在するか。
技術力 (構成員の開 発実績)・特 許	<ul style="list-style-type: none"> ・研究開発型企業及び研究機関としての開発実績。 ・構成員の開発実績。 ・保有する特許は開発候補品の実用化に十分なものか。
開発候補品の 特性	<ul style="list-style-type: none"> ・開発候補品は特定されているか。 ・開発候補品の物質特性に関するデータが明らかになっているか。 ・臨床試験の前提となる非臨床試験データが得られているか。
収益性 (既存の類 似品に対す る優位性、市 場性、予想価 格等)	<ul style="list-style-type: none"> ・対象となる疾患の市場規模はどの程度予測されるか。 ・他製品等よりどの点で優れていて、シェアはどの程度予測されるか。 ・医療現場における開発候補品のニーズはあるか。 ・上市後に見込まれる売上額及び収益額はどの程度予測されるか。
保健医療への 貢献度	<ul style="list-style-type: none"> ・国民の保健医療水準向上につながる厚生科学上の成果が期待できるか。 ・開発候補品の社会的評価は高いか（致命的疾患に有効か、現状では他の有効な治療手段のない疾患を対象としているか、十分な治療又は予防等の効果が見込める可能性は高いか、適用できる疾患は広い）。
開発候補品に 係る保有特許	<ul style="list-style-type: none"> ・特許の出願・維持管理体制が整っているか。 ・開発候補品の実用化に必要な特許権等の知的財産権が確保されているか。 ・実用化にあたり障害となる第三者の特許はないか。
経営・財務	<ul style="list-style-type: none"> ・事業化に向けた組織体制が整備されているか。 ・事業化に向けた資金等計画が立てられているか。
倫理面での妥 当性	<ul style="list-style-type: none"> ・政府、学会の定める倫理指針等に適合しているか。 ・再生医療等提供計画の届出・承認あるいは治験審査委員会の審査・承認を受けているか。

(4) 選定結果の通知

応募のあったテーマの選定結果については、開発テーマが決定された後、あらかじめ提出された通知用封筒にて通知する。なお、評価が終了するまでは、個別の問い合わせには応じない。

また、開発テーマについては、開発機関名、開発テーマ名、開発テーマの要旨等を原則として公開する。

7. 委託契約

本開発支援事業で選定された開発テーマは、委託契約をもって実施する。平成31年度以降も継続する可能性があるが、委託契約は、年度毎に契約を締結する。

委託契約は、原則として、研究所契約担当役と委託先の代表者（機関を代表して契約の締結を成しうる者。）との間で締結する。なお、委託契約金額は必ずしも提案金額とは一致しない。また、必要な契約条件が合致しない場合は委託契約の締結ができない場合もある。

8. 成果

(1) 成果報告書

開発代表者は、毎年度及び開発終了時に成果報告書を作成し、研究所に提出することとする。研究所は、その評価結果等を踏まえ、それ以降の事業計画、事業費の見直しや事業の継続の可否等を決定する。成果報告書が定められた期日内に提出されない場合は、それ以降の事業費の交付を打ち切ることがある。

(2) 成果の帰属

開発代表者には、本開発支援事業の成果を積極的に実用化することが期待されている。本開発支援事業の成果たる特許権等については、産業技術力強化法第19条（いわゆる日本版バイ・ドール制度）の趣旨を踏まえ、一定の要件の下に受託者に帰属させる。

(3) 成果の公表

研究所は、本開発支援事業に関する成果について積極的に公開し、その普及活動に努めることとしており、受託者に対しても成果の公開、普及に努めるとともに、必要に応じて研究所への協力を求める。

9. 事業化状況報告

(1) 事業化状況報告

開発代表者は、委託契約に基づく開発事業終了年度の翌会計年度以降、毎年過去1年間における事業化状況についての報告書を研究所に提出することとする。

(2) 売上納付

事業化状況報告により、本開発支援事業の成果によって売上が生じたと認められた場合、当該売上の一部に相当する金額を研究所に納付することとする。売上納付

の金額については、本開発支援事業により提供された資金の寄与度に応じて決定する。

10. 進捗管理

研究所は、本開発支援事業に関する進捗管理を行うため、年次評価や継続的なフォローアップ等を実施し、事業費の適正な執行の把握に努めるとともに、受託者と十分な連携・調整を図ることとする。

11. 備品の所有権等

受託者が本開発支援事業により購入した備品は、受託者の所有とするが、本開発支援事業終了後の備品の処分等取扱については、研究所から別途指示することとする。

12. 応募の手続き

- (1) 本開発支援委託事業に応募する者は、平成30年9月21日（金）午後5時必着で、応募に必要な書類を国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所開発振興部開発調整課あてに郵便（簡易書留とする）等にて提出すること。

なお、応募書類の様式は、インターネットの研究所ウェブサイト (<http://www.nibiohn.go.jp/>) に掲載するので、参照すること。

- (2) 応募に必要な書類

① 応募様式

- ・正本1部（片面印刷、ダブルクリップ留め）
- ・コピー30部（両面印刷、左上ホチキス留め）
- ・電子データファイル（PDF）。保存媒体は、CD-Rを使用すること。Macintosh等、Windows以外のOSで作成されたファイルは、Microsoft Word形式であっても受け付けない。

② 直近の財務諸表および直近の法人税申告書の写し

③ 応募書類関係連絡用封筒2枚

- (3) 応募書類に関する注意事項等

- ① 選定結果の通知等については、応募書類関係連絡用封筒にて通知する。
- ② 持参による直接の提出は受け付けない。
- ③ FAX、電子メールでの提出は受け付けない。

13. 不正使用及び不正受給への対応

不正使用を行った者及び偽りその他不正の手段により競争的資金を受給した者並びにそれらに共謀した者については、「競争的研究資金の適正な執行に関する指針」（平成17年9月9日競争的研究資金に関する関係府省連絡会申し合わせ（最終改正平成24年10月17日））に基づき、本事業への応募資格を制限するほか、不正使用・不正受給の悪質性等を考慮のうえ本事業の競争的資金の全部又は一部の返還を求める場

合がある。また、他の競争的資金担当部局に当該不正使用・不正受給の概要（不正使用・受給をした者の氏名、制度名、所属機関、開発テーマ、予算額、開発事業年度、不正の内容、講じられた措置の内容等）等についての情報提供を行う場合がある。また、悪質な事案についてはその概要を公表するとともに、競争的資金担当部局に対し、研究所から情報提供を行う場合がある。

1 4. 開発上の不正行為への対応

科学技術は、事実に基づく開発事業成果の積み重ねの上に成り立つ壮大な創造活動であり、この真理の世界に偽りを持ち込む開発上の不正は、科学技術及びこれに関わる者に対する信頼性を傷つけるとともに、開発事業の停滞をもたらすなど、科学技術の発展に重大な悪影響を及ぼすものである。そのため開発者は、所属する機関の定める倫理綱領・行動指針、日本学術会議の示す科学者の行動規範等を遵守し、高い倫理性を持って開発に臨むことが求められる。このため、本開発支援事業においては、不正を防止し、それらへの対応を明示した「研究活動の不正行為への対応等に関するガイドライン」（平成26年8月26日文科科学大臣決定）に基づき、このような不正に対して、選定結果の取消等を行い事業費の返還を求める、一定期間委託の対象外とする、不正の内容及び措置を公表する、他府省への情報提供等の対応をとる場合がある。

1 5. 利益相反（conflict of interest: COI）の管理

本開発支援事業の公正性、信頼性を確保するため、応募者が所属する機関の長は、第三者を含む利益相反委員会（COI委員会）の設置等を行い、本開発支援事業の応募者の利益相反について、透明性を確保し、適切に管理する必要がある。

利益相反については、「厚生労働科学研究における利益相反（conflict of interest: COI）の管理に関する指針」（平成20年3月31日付科発第0331001号厚生労働省大臣官房厚生科学課長決定（平成29年2月23日一部改正））があり、当該指針に準じた取扱いがなされている必要があると考えられることから、当該指針を満たさずに本開発支援事業を実施した者は、選定結果の取消等を行い事業費の返還を求める、一定期間委託の対象外とする、不正の内容及び措置を公表する、他府省への情報提供等の対応をとる場合がある。

1 6. 倫理規定の遵守

本開発支援事業の開発対象者等の尊厳や人権等を守るため、研究所は倫理規程等の遵守を求める。当該倫理規程等に違反して本開発支援事業を実施した者は、選定結果の取消等を行い事業費の返還を求める、一定期間委託の対象外とする、不正の内容及び措置を公表する、他府省への情報提供等の対応をとる場合がある。

17. 個人情報の取扱い

本開発支援事業に係る応募書類等に含まれる個人情報は、本開発支援事業の業務のために利用又は提供する他、上記13乃至16に基づく情報提供が行われる場合がある。なお、開発テーマ名等及び開発テーマの要旨については、研究所ホームページ等により公開する。

18. その他

- (1) 開発テーマが、既に他の公的な研究費等の助成を受けている、または、受けることが決定している場合には、速やかな報告を求める。
- (2) 応募者やその関係者が、開発テーマの選定を行う委員に直接接触することを禁じる。このような行為を行ったことが判明した場合は、当該採択候補テーマを評価対象から除外する。
- (3) 受託者の責任に帰する理由（不正等を含む）により、本開発支援事業の実施が不可能又は著しく困難になった場合には、委託契約を解除し、事業費の返還を求める。

19. 応募書類の問い合わせ先・提出先

本開発支援事業に関する問い合わせ先および応募書類の提出先は、以下のとおりです。（下記アドレス“AT”の部分を実@に変えること。お問い合わせは、E-mail又はFAXにてお願いします。）

〒567-0085 大阪府茨木市彩都あさぎ7-6-8

国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所

開発振興部開発調整課（担当：北村、太刀川）

E-mail: chouseika “AT” nibiohn.go.jp

FAX: 072-641-9830

20. スケジュール（予定）

10月・・・ 書面評価、面接評価等

11月・・・ 採択テーマ決定、委託契約締結

