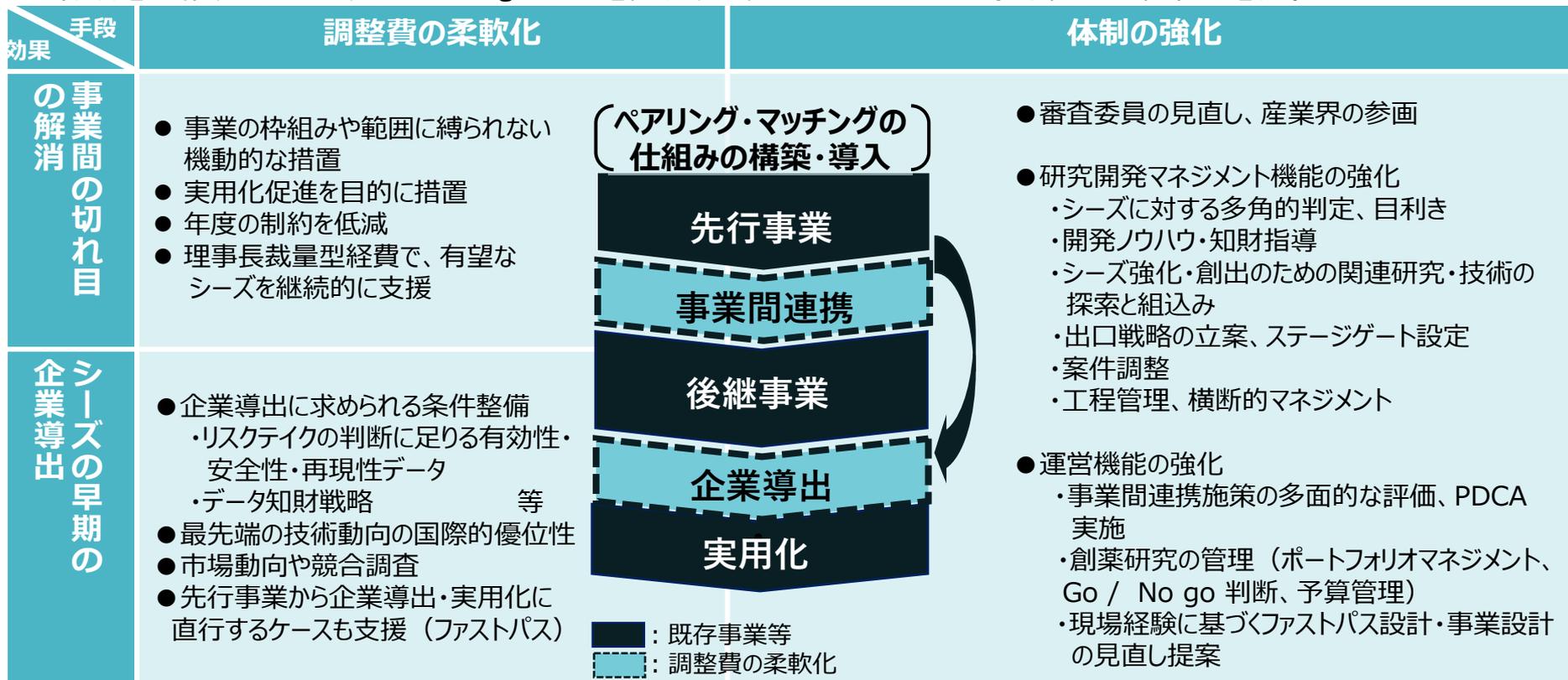


【目指すべき姿】

AMEDに対する研究開発支援について、調整費の柔軟な活用により各省補助等事業の間の連携を確保し切れ目ない支援を行うとともに、革新的なシーズを継続して創出しつつ事業の検討段階から出口志向の研究開発マネジメントを行うことによって、大学等が研究し開発する有望な創薬シーズの企業への導出を加速。

【実現方策】

- ◆ 基礎研究から臨床試験までの各段階において有望なシーズの企業導出を志向
- ◆ 調整費の一部を運営費交付金に充当し、AMED理事長の裁量で、事業間の切れ目や企業導出の手前にある有望シーズを支援・育成
- ◆ 明確な出口／技術戦略を立て、切れ目ない支援や企業導出を効果的に行うための指導體制をAMED内に整備
- ◆ AMED理事長の責任と裁量の下でシーズが生まれ、実用化が加速するよう、専門的観点から運営機能を強化する体制を整備。メリハリある Go/No go 判断を実施。必要に応じて個々の事業設計の見直しを提言



研究開発成果の実用化におけるAMEDの役割と課題

【AMEDの役割】

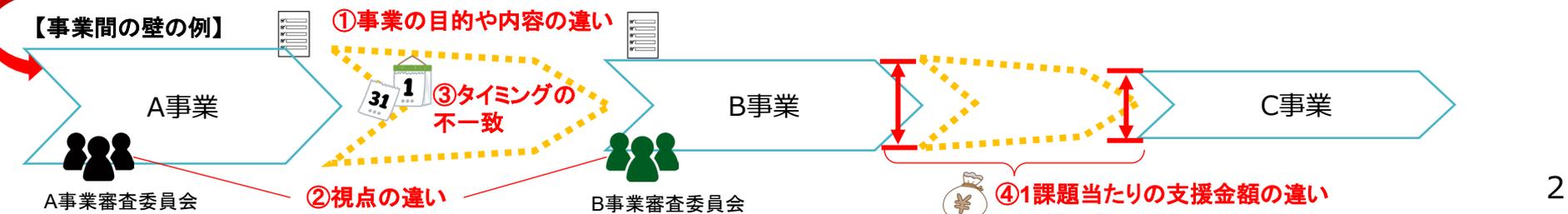
- AMEDのミッションは、**基礎的な研究開発から実用化のための研究開発までの一貫した研究開発の推進及びその成果の円滑な実用化。**
- 医療分野の研究開発は民間企業も多額の予算を投じて行っている中、AMEDは民間企業が手を出さない革新的な基礎研究や、ニーズはあるものの市場性が低い分野(難病・希少疾患等)、市場性が読みづらい分野(感染症等)などを中心に研究開発を実施。
- 有望なシーズ・コンセプトを製品化して市場に出すことは民間企業の役割。AMEDが実施する研究開発においては、**様々なフェーズにおいて早期の企業導出に取り組み、民間企業の力を最大限活用することが重要。**

【AMED事業間の壁】

- AMEDが実施する事業は、対象とする研究開発フェーズ上は重なっている部分が多いが、**事業の目的や内容の違いによる以下のような壁により、有望なシーズであっても支援の切れ目が生じてしまっている。**
 - ① A事業では、シーズ・コンセプトの商業的な可能性の検討や、安全性に関するデータ取得を想定していないものの、B事業の申請においてはこれらが要件化されている
 - ② A事業とB事業では、研究開発の目的や内容の違いから、課題評価委員会の委員の専門性による視点が異なっており、B事業への申請を想定した事前評価や中間評価がA事業において行われていない
 - ③ A事業の課題の終了時期とB事業の公募の開始時期のタイミングが合わず、研究開発を引き継げない期間が生じる
 - ④ 開発フェーズが進んだB事業においては、1課題当たりでA事業以上の支援が必要であるにもかかわらず、B事業の1課題当たりの支援規模が不十分であるため、本来B事業で実施すべき開発が十分に行われず、C事業への導出が進まない
- これら事業間の壁を打破するため、有望なシーズ・コンセプトの実用化を加速させるために**調整費の一層の柔軟化やAMED内の体制強化**を行い、毎年、検証・評価を繰り返すことで、**第3期の期間を通じて最適化された研究開発マネジメントシステムの確立を目指す。**



薬事承認・
製品上市等



連続的支援を行う事業ペアを予め設定し、先行事業選定時に連続支援課題を選定して、後継事業へと切れ目なく支援

開発研究



○公募要領の見直し

実用化視点の評価条件等を満たす案件を対象に、後継事業へ優先支援があることを明示

○審査委員の共通化、産業界の参画

技術優位性のみならず、出口志向の議論を経て審査

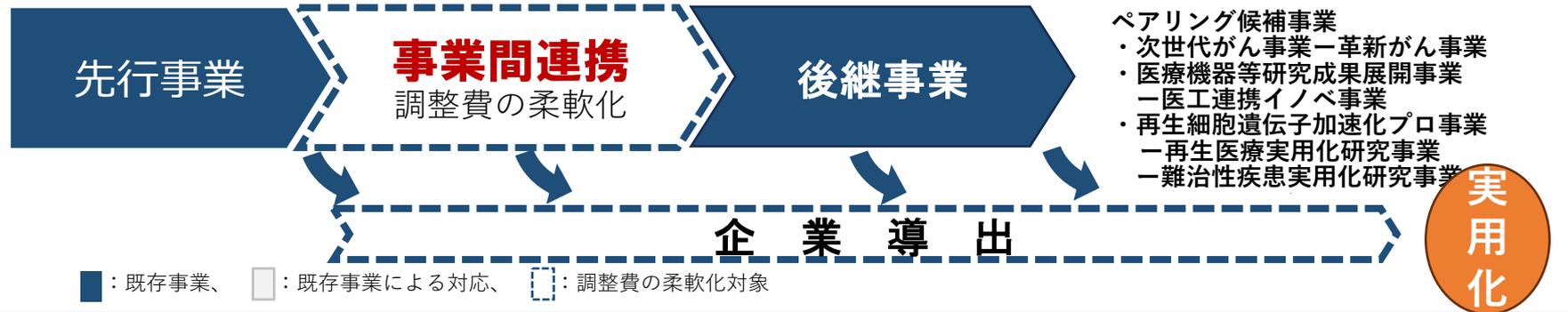
○連続的な伴走支援の導入

先行事業と後継事業のPS、POが相互に乗り入れ

○検証に基づく事業設計の見直し

先行事業と後継事業の不連続を生み出す要因を特定し、事業設計の見直しにつなげる。

(調整費の柔軟化) 切れ目の解消



(体制強化) 戦略的な導出支援

○課題選定での目利き

技術インパクトのみならず、実用化見通しの観点、さらには、市場動向や競争環境も勘案して多角的に判定。

○出口戦略

研究開発の早期から知財戦略及び導出戦略に取り組み、事業化のマイルストーンを設定するなど、出口戦略を指導。
また、薬事承認を見越したデータ整備や、関連技術との組み合わせなど、シーズ強化の取組を促進。

○研究開発管理、シーズ育成

マイルストーンを用いた進捗確認、情勢変化チェックを行い、これらに基づくメリハリある Go/No Go 判断の実施。その他の研究開発管理の支援
社会実装に必要な関連研究・技術の探索、研究者・技術者、医療関係者や企業等の仲立ち。
さらに、円滑な導出に向けて、将来の薬事承認への準備指導、導出先企業との調整や起業相談を実施

○検証及びノウハウの共有

企業導出後の追跡調査による成果の把握し、それらの支援内容を検証。
検証結果を連続的支援業務及びAMEDの研究開発支援にフィードバック。
事業設計の見直しを提案。

事業間連携体制
企業等外部人材の登用

AMEDが支援する研究開発活動から生まれつつある成果のポテンシャルを判定し、特定した有望シーズについて、出口戦略を調整して適切な後継事業へと切れ目なく支援

研究
開発

基礎

応用

非臨床

臨床

○公募要領等の見直し

実用化視点の評価条件等を満たすようになった案件を対象に、後継事業へ優先支援があることを明示

○審査委員の構成見直し、 産業界等外部人材の参画

先行事業との連続性も確保しつつ、出口志向の議論を経て審査

○連続的な伴走 支援の導入

先行事業のPOが引続き伴走支援に参加

先行事業

案件調整

調整費の柔軟化

後継事業

企業導出

実用化

■: 既存事業、 □: 既存事業による対応、 - - -: 調整費の柔軟化対象

切れ目の解消
(調整費の柔軟化)

○情報集約・分析(目利き)

医療界、患者・家族等のニーズ動向を、個々人に頼らず体系的に把握。

最新の研究動向、技術動向等の調査、分析を行い重要技術等のショートリストを作成。これによりAMEDの目利き能力及び案件調整能力を向上。

特に有望なシーズ候補について、資源の集中投入に先立ちインパクト分析を実施。

○案件調整

AMEDが支援中の課題から生まれつつある成果の価値を実用化の観点からいち早く見極め、連続的な支援の対象を選定。

対象課題について、有識者との相談や関連技術と組み合わせの探索、知財戦略・導出戦略をはじめとする、シーズの充実、育成策を検討。PD、PS、POや委員等を交えて具体的な研究計画を検討。

また、実用化への計画に応じて、シーズの価値を高めるような共同研究の検討と調整を主導。

要すれば、関連技術の組合せの可否テストや、実用化までの見通しに必要な試験・試行の実施を要請し、導出への工程作成に必要な情報を取得する。それら実証結果を得て、後継への継続可否を判断。

上記の実務を通してAMED内に選定・シーズ育成力を養成

○出口戦略

上記ペアリングと同じ

○研究開発管理、 シーズ育成

上記ペアリングと同じ

○検証及びノウハウの共有

上記ペアリングと同じ

戦略的な導出支援
(体制強化)

事業間連携体制
企業等外部人材の登用

シーズのビジネスサイドへの導出①

【ハンズオン支援の在り方】

- 研究開発成果の実用化においては、民間企業との適切な役割分担の下、民間に任せては進まない部分をAMEDが担っていくことが重要。市場規模が大きく、国内外で大きな売上が期待できるシーズについては、基礎研究のフェーズであっても、早期に企業導出を追求することが必要。他方でシーズはあるものの患者数が少ないために市場性が見込めないシーズについては、AMEDにおいて臨床試験も含め開発を進め、企業がリスクテイクできる水準・フェーズまでシーズを磨いていくことが重要。
- いずれの場合においても、技術的リスクや市場性リスクなどが、企業にとって受け入れ可能な水準にまで下がっていることが重要であり、フェーズごとに達成すべき水準について可能な限り言語化・具体化し、形式化していく。

【Go/No Go判断】

- 厳格なGo/No Go判断と、No Goとなった課題の中止は、効率的な予算執行の観点から重要。特に、採択後の年度評価や中間評価等の結果、No Goとした課題は年間数件程度であり、これらの評価を目的に応じて実質的なものにしていくことが重要。
- 年度評価、中間評価等は、採択された課題が所期の目的を達成できるよう、助言等を行うことが主眼ではあるが、改善が見込めない課題についてはNo Go判断をし、空いた枠を活用して次年度の公募においてよりポテンシャルの高い課題を採択することは、採択課題のポートフォリオの新陳代謝を高め、成果目標の達成にとって有益である。そのため、事業の特性にも配慮しつつ、実用化の観点から各フェーズで達成すべき水準を満たしているかを中間評価等の評価基準に加える。
- 事業目的や研究開発段階に応じ、支援期間中で達成すべきマイルストーンを設定し、年度評価や中間評価等におけるGo/No Go判断に反映

基礎研究

応用研究

開発研究

非臨床

臨床試験

実用化

AMEDの役割

- 革新的な基礎研究
- ニーズはあるものの市場性が低い分野
- 市場性が読みづらい分野 等

様々なフェーズにおける早期の企業導出への取組

民間企業の役割
研究開発、製品化・市場化

薬事承認・
製品上市等

A事業

B事業

C事業

D事業

【各フェーズで達成すべき水準の例】

＜基礎研究段階＞

○技術的リスク

- 画期的なブレイクスルーが再現性高く達成されている
- 対象とする疾患や標的分子の作用機序が明らかになっている
- 開発すべき薬剤分子の候補が存在している

○市場性リスク

- 世界的に患者数が多く、大規模な市場が見込まれる
- 競合技術がなく、実用化すれば市場を独占できる

＜応用研究段階＞

○技術的リスク

- 薬剤分子の有効性や安全性について非臨床PoCが取れている
- 薬剤として投与する方策が定まっており、技術的に大量生産の目的が立っている

○市場性リスク

- 周辺特許も含め知財が確保できており、競合技術に対し比較優位が明らかになっている
- 相当数の患者がおり、安定した市場が見込まれる

＜開発研究段階＞

○技術的リスク

- 第Ⅱ相～Ⅲ相の臨床試験段階にあり、薬事承認申請への見通しが立っている

○市場性リスク

- 製品化された薬の投与を希望する医師・患者が、今後の開発コストを回収できる規模で把握できている。

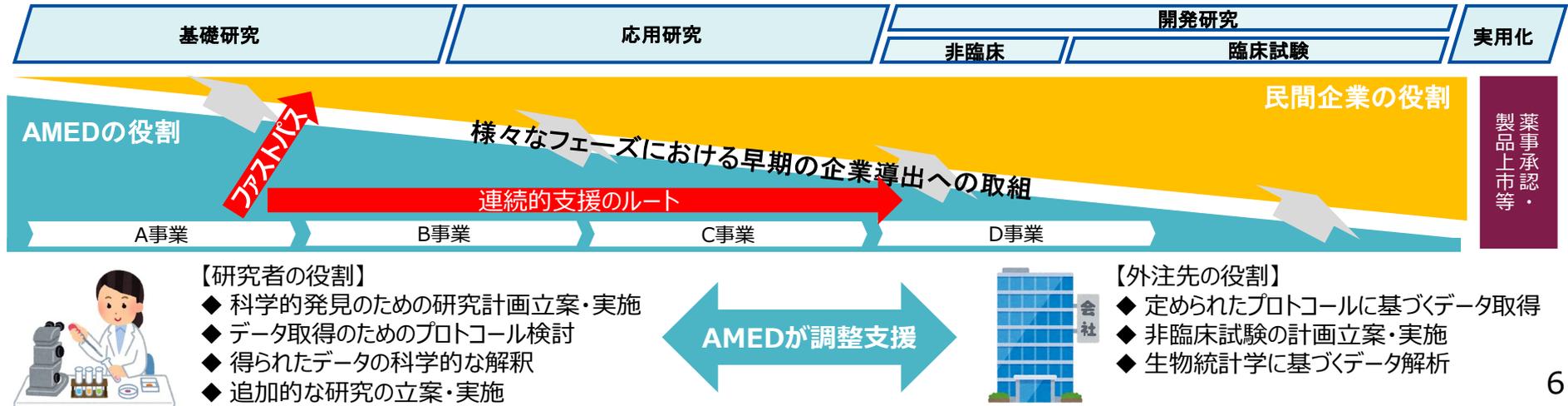
シーズのビジネスサイドへの導出②

【ファストパスの是非】

- 「ファストパス」は、基礎研究段階にある有望なシーズについて、補助等事業をつないで段階的に育成して企業導出するのではなく、**基礎研究段階の支援終了後に直接企業へ導出、あるいはスタートアップを創出して民間のリスク投資を得てスタートアップにおいて育成することを指すルート**
- 有望なシーズがどの研究開発フェーズにあるかに関わらず、民間企業がリスクを取ってシーズを引き取り、自ら開発を進めることは、実用化の加速や公的資金の効率的な使用の観点からも好ましく、件数は多くないとしてもそのようなルートを意識して伴走支援や導出先の開拓を行うことは重要。
- そのためには、**基礎研究段階においても企業導出を見据えた出口戦略や知財戦略の立案、安全性のデータ取得等の取組が必要**であり、柔軟化された調整費の活用も含め、**研究開発戦略推進部のペアリング・マッチングを推進担当者が事業担当者とも協力しつつ支援を行っていくことが必要**。

【企業導出に向けた追加的なデータの必要性】

- 研究者の多くは、**科学的に未解明な事象について、その機序等を明らかにし、論文発表を通じて科学の進展に貢献することが第一のミッション**。そのような研究者にとって、科学的発見や論文につながらないようなデータの取得はインセンティブが低くなる傾向があり、研究者の発意による研究計画に、実用化のプロセスに必要なデータの整備を助言・指導していくことが必要。
- 各研究開発段階で必要なデータは、ある程度類型化はできるが、**実用化プロセスに精通した産業界の関係者からのヒアリング等を通じて案件ごとのきめ細かい対応が必要**であり、「体制・ノウハウ強化」において検討しているペアリング・マッチングの実施体制で補完すべき事項。



体制・ノウハウ強化

【AMEDの体制・ノウハウ強化】

- 有望なシーズを見出し、必要な伴走支援を行い、実用化を加速化するため、政府・AMEDが一体となって、個別企業や製薬協等へ働きかけ、**優秀な人材を出向者として受け入れるとともに、AMEDにおいてもプロパー職員を配置してペアリング・マッチング実施体制を整備し、外部の知見の活用と人材育成を一体的に取り組んでいくことが重要。**その際、適切なマイルストーン設定の在り方、取るべきデータやタイミング、知財確保で考慮すべき事項等について**可能な限りマニュアル化**を推進。
- 同時に、切れ目ない支援やシーズの企業導出の促進のための取組を理事長の責任と裁量の下で適切に行えるよう、**外部人材も活用して創薬等の研究開発の視点に特化した創薬の企画立案・調整等を行う総括戦略機能を整備し、上記のペアリング・マッチングの実施者と連携して事業間連携・企業導出の加速化を推進。**

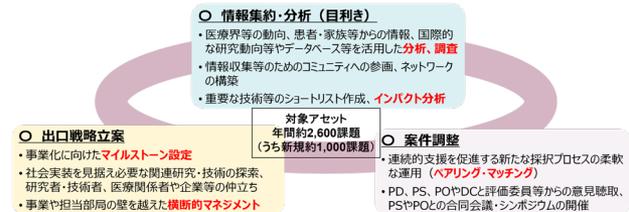
【政府側の体制】

- 事業間連携による実用化の加速やそのための体制整備等は、AMEDの力だけでは実現困難。例えば**円滑な事業間連携のための事業設計の見直しには事業担当省庁の協力が不可欠**である。**民間企業から優秀な人材を呼び込むにあたっては、政府とAMEDが一体となって取り組むことが重要。**
- 実務者検討チームによる取りまとめの進捗を継続的にフォローし、必要に応じて推進計画やAMED中長期目標、予算要求への反映を行うため、**AMEDと主務省を中心に、AMEDの経営上の課題について情報共有し、各省の施策に落とし込んでいくため、法人所管課とAMEDの経営層が定期的に意見交換や議論を行う場の創設を検討。**

AMEDの経営上の課題についての議論の場



AMEDの体制・ノウハウ強化



ペアリング・マッチングの実施体制の整備