

国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所
希少疾病用再生医療品等開発支援事業評価実施要領

平成27年4月1日
27要領第2号

1. 目的

この要領は、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。）の希少疾病用再生医療品等開発支援事業に係る開発テーマに関して、適正な評価を効果的に実施するため、必要な事項を定めることを目的とする。

2. 評価の基本的考え方

(1) 外部評価の実施

評価の客観性、公正性、信頼性を確保するため、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。）において、評価を行う。

(2) 評価時期等

研究所は、事前評価（開発テーマの採択前に行う評価をいう。）、年次評価（事業実施期間中、毎年度行う評価をいう。）及び終了後評価（事業実施期間終了後に行う評価をいう。）、終了後の年次フォロー（事業実施期間終了後に毎年度行う指導・助言等をいう。）を実施する。

(3) 適正な評価の実施

研究所は、希少疾病用再生医療品等開発支援事業の現状について、評価の透明性、公正さを確保するため、具体的な仕組み（評価実施要領等の策定、委員会の設置）を整備し、適正な評価を実施する。

ア 評価方法の周知

研究所は、評価における公正さ、信頼性、継続性を確保し、実効性のある評価を実施するために、評価目的や評価対象に応じて、あらかじめ評価方法（評価手法、評価項目、評価基準、評価過程及び評価手続等）を明確かつ具体的に設定し周知する。

イ 評価内容の被評価者への開示

研究所は、評価実施後、被評価者に結果を開示し、その内容を説明する等の仕組みを整備する。なお、被評価者の業績の評価については、研究所が定める方法に従う。

ウ 評価結果の公表

研究所は、個人情報や企業秘密、知的財産等に配慮しつつ、評価結果をホームページ等により、わかりやすい形で公表する。ただし、被評価者の業績評価の結果については、個人情報の秘密保持の点から慎重に取り扱う。

3. 実施手順

(1) 事前評価

事前評価は、次の手順により実施する。

ア 応募書類の提出

応募者は、別に定める応募書類を研究所に提出する。

イ 書面評価

研究所は、採択候補テーマごとに、応募書類及びその他の参考資料（以下、「応募書類等」という。）を委員会委員に送付する。委員会委員は、応募書類等に基づき、専門的・技術的観点からの書面評価を行い、評価結果を委員会に提出する。委員会は、応募書類等に基づき、専門的・技術的観点からの評価を行う。

ウ 面接評価

委員会は、応募書類等、被評価者によるプレゼンテーション等に基づき、専門的・技術的観点からの評価を行う。

委員会は、書面評価及び面接評価の結果を踏まえ、委員会として採択すべきと評価する開発テーマを選定する。

(2) 年次評価

年次評価は、次の手順により実施する。

ア 成果報告書の提出

被評価者は、別に定める成果報告書を研究所に提出する。

イ 書面評価

研究所は、担当の委員会委員に成果報告書及びその他の参考資料（以下、「成果報告書等」という。）を送付する。当該委員会委員は、成果報告書等に基づき、専門的・技術的観点からの書面評価を行い、評価結果を委員会に提出する。

ウ 面接評価

委員会は、開発事業成果報告書等、被評価者によるプレゼンテーション等に基づき、専門的・技術的観点からの評価を行う。

委員会は、書面評価及び面接評価の結果を踏まえ、継続の可否を含めて開発テーマに今後の方向性に関する提言をまとめる。

エ 進捗状況等報告会

研究所は、必要に応じて、進捗状況等報告会を開催し、被評価者に開発の進捗状況等の報告を求めて、開発の進捗状況等を調査する。進捗状況等報告会には、必要に応じて、委員会委員が参加する。

オ 進捗管理連絡会議

研究所は、必要に応じて、進捗管理連絡会議を開催し、被評価者の開発の進捗状況における問題点や改善点を提言する。進捗管理連絡会議には、必要に応じて、委員会委員が参加する。

カ 実地調査

研究所の職員は、必要に応じて被評価者の施設を訪問して、開発の進捗状況を調査する。実地調査には、必要に応じて、委員会委員が参加する。

(3) 終了後評価

終了後評価は、年次評価の手順に準じて実施し、開発成果の最終的な評価を行う。

(4) 終了後の年次フォロー

終了後の年次フォローは、年次評価に規定する進捗状況等報告会に準じて実施する。

4. 評価項目及び評価方法

(1) 事前評価

ア 書面評価及び面接評価は、別添の評価事項ごとに評点を付けることにより行う。

イ 事業の特性を踏まえて評価項目ごとに点数の配分（ウェイトづけ）を行った上で、総合点を算出し、点数の高い開発テーマを優先的に採択することを原則とする。

ウ 委員会は、必要に応じて評価項目の追加変更を行う。

(2) 年次評価

ア 事前評価に準じて採点法により評価を行う。

イ 評価者は、採点の他、開発テーマの今後の方向性について、意見を付するよう努める。

(3) 終了後評価

年次評価に準じて採点法により評価を行う。

5. 評価における客観性の確保と適切な配慮

(1) 利益相反（COI）の管理

開発の公正さ、信頼性の確保の点から、委員会委員が所属する機関の長が、第三者を含む利益相反委員会（COI委員会）の設置を行う等、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、適切に管理しているか確認する必要がある。委員会委員が被評価者と利害関係を有していると認められる場合には、当該開発テーマについては評価しないものとする。委員会委員が現在所属している機関が、再委託先となっている開発テーマについても同様とする。

ただし、評価に影響を与えないと研究所が判断した場合は、この限りではない。

(2) 倫理規程の遵守

開発対象者等の尊厳や人権等を守るために、研究所が定める倫理規程等の遵守を求める。

(3) 情報公開

評価者の評価に対する責任を明確にするために、評価実施後、適切な時期に評価結果を公表する。ただし、個々の開発テーマに対する評価者が特定されないように配慮する。

(4) 個人情報の保護

個人情報の秘密保持の点から、開発テーマの取り扱いは慎重に行う。

6. 評価結果等の活用

(1) 事前評価の結果

事前評価の結果は、研究所が開発テーマを決定する際の判断材料として用いるとともに、開発テーマについては、評価結果に基づき開発計画案の修正等を行うよう委託先に求める。

(2) 年次評価の結果

年次評価の結果は、当該開発テーマに対する事業費の配分額の増減、開発計画の変更等に活用し、経常的な開発活動全体の改善に資するように配慮する。また、評価の結果、改善の可能性が乏しいと判断されるときは、委託を中止し、延長により成果確定の可能性が高まると判断されるときは、委託期間を延長する。

(3) 終了後評価の結果

終了後評価の結果は、当該開発テーマに係る開発候補品の実用化・製品化に向けた指導・助言を行う際に活用するとともに、本事業の評価や、今後のあり方を検討する際に活用する。

(4) 終了後の年次フォロー

終了後の年次フォローは、進捗状況報告会等の記録に基づき、受託者に指導・助言を行い、継続的なフォローに努める。

7. 評価結果の公表

(1) 研究所は、以下の事項をホームページ等に掲載して公表する。

ア 各開発テーマの内容、事業費の交付額、成果報告書の概要

イ 評価実施要領、議事要旨

(2) 公表にあたっては、個人情報や企業秘密、知的財産等について、それらを保護する観点に配慮するものとする。

附則

この要領は、平成27年4月1日より施行する。

1. 事前評価

① 専門的・技術的観点からの評価

評価事項	評価の観点
実用化計画の 妥当性・実用化 の可能性 (40点)	<ul style="list-style-type: none"> 採択候補テーマの開発計画全体の中で、本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） (10点)	<ul style="list-style-type: none"> 開発担当者の構成、施設の設定等の観点から、本開発支援事業の遂行が可能となる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 (20点)	<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 (10点)	<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、コ スト等) (20点)	<ul style="list-style-type: none"> 対象となる疾患の市場規模はどの程度と予測されるか。 他製品等よりどの点で優れていて、シェアはどの程度と予測されるか。 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と予測されるか。
保健医療への貢 献度 (10点)	<ul style="list-style-type: none"> 国民の保健医療水準の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かな）。
開発候補品に 係る保有特許 (5点)	<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 (5点)	<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。
---------------	---

② 行政的観点からの評価

行政的意義 (点数なし。 コメントの み)	<ul style="list-style-type: none"> ・厚生労働行政の課題と関連性のある開発であるか。 ・厚生労働行政の課題における重要性が高い開発であるか。 ・社会的経済的効果が高い開発であるか。 ・開発内容に鑑み、要求された事業費額が適正か。
倫理面での妥 当性(点数な し。コメント のみ)	<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。 ・倫理審査委員会の審査・承認を受けているか。

2. 年次評価

① 専門的・技術的観点からの評価

評価事項	評価の観点
開発計画の達成度(20点)	<ul style="list-style-type: none"> ・当初の計画通り開発が進行し、成果が得られているか。 ・承認申請等に必要な報告書、記録等が作成されているか。
今後の開発計画の妥当性(20点)	<ul style="list-style-type: none"> ・今後開発を進めていく上で、計画に問題はないか。計画に変更が必要な場合は、どのように変更すべきか。 ・今後、計画された成果が上がることを期待できるか。
開発継続能力(20点)	<ul style="list-style-type: none"> ・開発体制(開発担当者の構成など)が、開発を継続し、所期の目的を達成する上で適切か。開発体制に変更が必要な場合は、どのように変更すべきか。
事業費執行の妥当性(10点)	<ul style="list-style-type: none"> ・支出実績が支出計画等に照らし適正か。 ・今後の支出計画が適正か。
事業化計画の妥当性(20点)	<ul style="list-style-type: none"> ・事業化後の成長性、収益性等の計画に大幅な不整合は起きていないか。
知財又は経営(10点)	<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。 ・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。

② 行政的観点からの評価

行政的意義 (点数なし。 コメントのみ)	<ul style="list-style-type: none"> ・厚生労働行政の課題の解決に資する成果が得られているか。 ・社会的経済的効果の高い成果が得られているか。 ・支出実績が支出計画等に照らし適正か。
倫理面での妥当性 (点数なし。コメントのみ)	<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。 ・倫理審査委員会の審査・承認を受けているか。

3. 終了後評価

専門的・技術的観点からの評価

評価項目	評価の観点
開発計画の達成度 (20点)	<ul style="list-style-type: none"> ・計画した開発を達成したか。計画していた開発を達成できなかった場合、どこに問題があったか。
今後の開発計画の妥当性 (10点)	<ul style="list-style-type: none"> ・事業化に向けた今後の開発計画が妥当であるか。 ・事業化に向けた活動計画が適切に立案されているか。 ・今後、計画された成果が上がることを期待できるか。
開発継続能力 (10点)	<ul style="list-style-type: none"> ・開発体制（開発担当者の構成など）が、開発を継続し、所期の目的を達成する上で適切か。開発体制に変更が必要な場合は、どのように変更すべきか。
事業費執行の妥当性 (5点)	<ul style="list-style-type: none"> ・支出実績が支出計画等に照らし適正だったか。
事業化計画の妥当性 (10点)	<ul style="list-style-type: none"> ・事業化後の成長性、収益性等の計画に大幅な不整合は起きていないか。
知財又は経営 (10点)	<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。 ・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 (点数なし。コメントのみ)	<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。 ・倫理審査委員会の審査・承認を受けているか。