

令和2年度調査事業

「医療分野における実用化につながった研究成果調査」

報告書公表版

背景

AMEDの使命は「成果を一刻も早く実用化し、患者さんの元にお届けすること」で、医療分野における基礎から実用化までの一貫した研究開発の推進と成果の実用化に向けた取組を行うこと。

研究機関に必要な実用化に向けた取組

- ✓ 基礎から実用化までの切れ目ない研究資金の支援
- ✓ 実用化に向けた環境整備（連携体制構築等）の支援



総合的・効果的な取組を行うためには

- ✓ 研究機関が個々に抱える課題を分析・整理することで、将来の潜在的な課題に対処できるようにする必要がある
- ✓ 上記課題に対処すべく、AMEDは、研究開発段階や体制等にあわせた研究開発マネジメント手法や実用化支援手法を改善する

調査目的

成功事例の共通点を見出して、今後、実用化を目指す研究者や当該研究を支援する者が、顕在化している又は将来の潜在的な課題に対処できるよう、研究者・支援者がより一層研究を加速できるよう知見を取りまとめる

調査実施概要

医薬品・再生医療・医療機器の実用化に関する課題21件のインタビューに基づき実用化に至る研究課題の成功要因を分析。

インタビュー調査対象課題

- 医薬品・再生医療・医療機器の実用化に関する課題21件を対象
 - 医薬品：9件
 - 再生医療：6件
 - 医療機器：6件
- 研究代表者又は開発の発案者などキーパーソンに対し1～1.5時間程度インタビューを実施

調査アプローチ

デスク調査

- 研究成果に関する事実関係及び過去のインタビュー等の公開情報のデスク調査結果をとりまとめ

初期仮説の設定

- デスク調査・貴機構との議論をもとに課題毎の成功要因の初期仮説を設定しインタビュー個別化

個別事例の分析の実施

- インタビュー結果に基づき、各研究課題の開発端緒、プロジェクト進行中の課題・壁などの整理を行う

成功要因の一般化

- 研究者が歩む道のりを踏まえ研究開発の端緒の性格から類型化・分析を行うとともに、各研究課題について研究の発生・突破要素、促進要素、不足・課題要素等の分析を実施

実用化に向けた成功要因

実用化に向けて重要となる様々な要因の中で、全ての事例で成功のカギを握る“連携体制の構築”に注目すべき。研究の端緒によって課題の本質・対策が異なるため本調査にて深掘した。

各研究段階で成功するために必要な要素

事例特有性

開発端緒・着想

- 特に必須の成功要因ではないが、革新的なシーズを端緒とした研究では、着想段階で論文より知財確保を優先することに留意する必要がある

- 革新技术を端緒とするケースに多く見られる

連携体制構築

- 医師が主導する研究の場合**、ビジネスとしての価値を評価する視点が抜けがちであるため、製造販売企業との**連携体制の早期構築**が成功要因となる
- 既存技術の異分野転用の場合**は、複数プレイヤーと連携することが多く、コミットメントの高い連携体制を初期に構築することが成功要因となる
- 革新的なシーズを端緒とした研究の場合**、技術のポテンシャルは十分でも、当事者間の利害調整が不十分で研究開発が進まなくなるため、長期にわたり企業との緊密な連携を維持することが成功要因となる

- ほぼ全ての事例でピットホールとなり、成功のカギを握るが、研究の端緒によって課題の本質・対策が異なる

非臨床/臨床/ 薬事承認

- PMDAと連携不足**で薬事承認に余分に時間がかかり研究のボトルネックとなる

- 各型共通

スピンアウト/ 製造・販売

- 特に現場医師が主導する研究で、収益モデルに欠陥があり製造に至らない事例は見られる

- 医師が主導するケースに多く見られる

研究類型の定義

連携体制の構築などの課題を深掘りするために、研究開発の端緒等から、医療研究開発を4類型に分類した。

型定義

合計21件の 調査対象課題

医薬品：9件

再生医療：6件

医療機器：6件

【事例類型化による連携の分析】

- ステークホルダーとの連携は様々であるところ、調査対象事例を**研究開発の特徴に着目して類型化**を行った
- **研究の端緒**によって連携体制に関する課題の本質・対策が異なるので、右記の通り定義する**4つ**類型ごとに分析を行った

開発端緒や研究開発の性質に着目し、**4類型に分類**

医師主導型

現場医師等が日々直面する課題意識の強さから着想され研究開発を主導し、実用化に至る研究開発

技術活用型

既存技術の適用拡大又は異分野転用の模索による研究開発するもの

革新技术型

基本技術となる新技术・新規物質の発見など**革新的なシーズ**を端緒に実用化した研究開発

規制伴走型

実用化にあたり、医・官一体で、**規制又は薬事審査に係る基準の整備**が必要な研究開発

成功要因の一般化

医師主導型

技術活用型

革新技術型

規制伴走型

製造販売を担う企業との連携体制の早期構築が成功要因。そのためには、医師側の理想的な目標を残しつつ、①企業の参画可能性を広げること、②ビジネス的にも現実的であること、③スムーズなデータ収集体制構築による研究開発の加速が突破要素である。

型定義

現場医師主導で、日々直面する課題意識の強さから着想され研究開発を主導し実用化に至る研究開発

典型的 ピットフォール

ビジネスとしての価値が軽視される傾向がある

成功要因

製造販売を担う企業との連携体制の早期構築

突破要素

医師の理想的な目標を残しつつ、①企業の参画可能性を広げること、②ビジネス的にも現実的であること、③スムーズなデータ収集体制を構築すること

成功要因の一般化

医師主導型

技術活用型

革新技术型

規制伴走型

複数プレイヤーによる連携体制となることが多く、コミットメントの高い連携体制を構築することが成功要因。そのためには、①異分野も含む商談会などを利用した活用領域の拡大、②研究を主導するプレイヤーのフットワーク・推進力により、自社や連携会社の高いコミットメントを得ることが突破要素である。

型定義

技術保有企業主導で、企業がもつ**既存の技術の適用拡大又は異分野転用**の模索による研究開発

典型的 ピットフォール

連携先企業の利益につながらず、**連携先が道半ばで離脱してしまう**ことがある

成功要因

要素技術を持つ**プレイヤー同士**が**高いコミットメント**で連携すること、コミットメントの高いプレイヤーと出会うこと

突破要素

- ① **異分野も含む商談会**や地理的優位性を利用した**活用領域の拡大**
- ② **研究を主導するプレイヤーのフットワーク・推進力**により、自社・連携会社の高いコミットメントを得る又は体制再構築を図れること

成功要因の一般化

医師主導型

技術活用型

革新技术型

規制伴走型

実用化されるまでの長期の時間を見据えた連携先を選定するとともに、体制維持のための努力を要することを初期から意識することが成功要因。そのためには、①連携候補先の競合製品と研究体制を十分に把握・考慮した利害調整を的確に行う②連携先からの支援が手薄な時期についても公的支援等を活用することで研究を継続させることが突破要素である。

型定義

研究者主導で、基礎科学的/物質の発見など**強いシーズ・知財**を端緒に実用化に至る研究開発

典型的 ピットフォール

技術のポテンシャルは十分にあるにもかかわらず、実用化までに**長期**の時間を要することで、**連携先との関係**がうまくいなくなる

成功要因

実用化されるまでの**長期の時間を見据えた連携先を選定**するとともに、**体制維持のための努力**を初期から意識すること

突破要素

- ① **連携候補先**の競合製品や研究体制等も含め**利害が一致**すること
- ② 連携先からの支援が手薄な時期についても**公的支援等を活用**することで**研究を継続させる**こと

成功要因の一般化

医師主導型

技術活用型

革新技术型

規制伴走型

規制又は薬事審査に係る基準の整備に積極的に関与していくことが成功要因。そのためには、①研究者側から提案することも含めて構想段階から規制当局と緊密に相談すること、②具体的に規制当局と相談できるポジションを早期に確立することが突破要素である。

型定義

分野第一人者主導でかつ国策として重要であり、規制・ルール作りから医・官一体で実用化に至る研究開発

典型的 ピットフォール

薬事承認プロセスで規制当局による方針決定・変更に伴う予期せぬ対応を余儀なくされる

成功要因

規制又は薬事審査に係る基準の整備に積極的に関与していくこと

突破要素

- ① 研究者側から提案することも含めて構想段階から規制当局と緊密に相談すること
- ② 具体的に規制当局と相談できるポジションを早期に確立すること

課題克服に向けたAMEDの支援

実用化に向けた課題の早期確認と研究開発の方向性の改善に向けた助言を随時行う等のきめ細やかな研究開発マネジメントや、突破要素に応じた多様かつ柔軟な実用化支援メニューの提供が必要。

研究開発マネジメントの例

- 企業・臨床医側のニーズを把握し、実用化に向けた課題を見極めるための機会、及び必要な周辺環境情報の提供

実用化支援メニューの例

- 企業の参画可能性の拡大、親和性の高い連携体制の構築、異分野も含む活用領域の拡大等、に向けた実用化支援メニューの提供
- 研究開発段階に応じた適時の助言・支援