

## NIH での Transformative Research ファンディングのプログラム設計とマネジメント

**Dr. Richard S. Fisher, Associate Director for Science Policy and Legislation, Director, Office of Program Planning and Analysis, NIH Roadmap Nanomedicine Initiative, National Eye Institute, National Institute of Health (NIH)**

初めに、ここで皆様にお話をする機会をいただいた JST に感謝したいと思います。今日は、私ども NIH（米国国立衛生研究所）での、トランスフォーマティブ（注 1）な、即ちハイリスクハイリターンの研究プログラムに対する資金提供プロセスについてお話したいと思います。まず、NIH にはそれぞれ個別のミッションを持つ 27 の研究所やセンターがありますが、ここで重要なことは、これら各研究所は研究活動への資金提供についてそれぞれ独自のアプローチを持っているということです。

各研究所は大きく分けて所内活動部門と所外活動部門の 2 つの部門を持っています。所外活動部門は外国や国内の大学からの補助金申請に対して資金提供を行います。所内活動部門は、ワシントン郊外のベセスダにある NIH の構内において実験室での研究や臨床研究を行う科学者のグループです。ここで、NIH の資金はその 85% が所外活動部門の研究に対する資金提供に使用されており、所内活動部門の研究には 10% が使われているということに注意してください。NIH 全体のトップに位置するのは長官事務局（Office of the Director）です。

次に、NIH におけるピアレビュー（補助金申請書審査）のプロセスはシンプルなものです。まず補助金申請書は科学的価値評価センター（Center for Scientific Review）へと送られ、25 名の委員で構成される審査委員会で審査されます。ここでの審査基準は、すべての申請に対し共通化されています。

申請書を審査した後、審査委員会による所見をまとめたサマリー文書が諮問会議（Advisory Council）へと提出され、ここでその審査が公正で偏見のないものである、ということが確認されます。原則として、NIH の各研究所が補助金申請に対して資金提供を行う場合、この諮問会議による承認が必要です。

さて、NIH の各研究所は、以下に示す 3 つの判断基準に基づいて資金提供を行っています。すなわち、その科学的価値が卓越したものかどうか、各研究所のミッションに合っているかどうか、その年の予算内で資金を提供できるか、という 3 点です。さらに、各研究所は多くのプログラムオフィサー（PO）をかかえていて、PO が審査委員会の点数は低いトランスフォーマティブな研究提案と認められる補助金申請に出会った場合、その PO はプログラム上の妥当性を指摘した上で、その申請に対し補助金提供を行うことも可能です。

また、各研究所の共通の関心に基づく共同資金提供も多く行われています。つまり、NIHの医学研究ロードマップに基づく NIH の体制には適合しないテーマも数多くありますが、このロードマップが掲げる目標は、基礎研究を加速し、科学的発見から臨床診療への変換をスピードアップすること、健康を改善するための生物医学研究のペースを低下させている障害に明確に対処すること、潜在的にトランスフォーマティブな革新的な研究への補助金提供を行う新しい方法を開発すること、NIH に関係する重要なプログラムを展開することです。このロードマップに基づき、各研究所に共通する潜在的にトランスフォーマティブな研究の補助金申請に対して資金提供を行う権限が長官事務局に与えられています。

話を先に進めますと、この NIH のロードマップは、科学的発見への新しい道筋、将来の研究チーム、および臨床研究事業のリエンジニアリングという 3 つのカテゴリーに分かれています。科学的発見への新しい道筋では、ナノ医療に重点を置いています。これはシンプルなビジョンを持つ、新奇性のあるプログラムです。ここでは、特定の疾病を明らかにしたいのではなく、細胞内の 1 つのモデルシステムを明確にして、細胞内の生体分子およびその複合体の新しい性質やその他の既知の性質を定量的に明らかにしたいと考えています。分子錯体の働きや工学的な原理が完全に理解できれば、細胞組織の修復と病気の予防に役立つ新しい技術、工学デバイス、ハイブリッド構造等を開発できます。

しかし、この点について我々は 2 つの課題に直面しています。その 1 つは、これから 10 年以内に、医学上の問題に対処するための工学的構造体を可能にするような精密さでナノスケールレベルのシステムを理解することです。もう 1 つは、基礎科学者と共に開始し研究の初期の段階から臨床科学者を関与させる医学研究プログラムを策定することです。すなわち、我々の構想は多くの学問分野にわたり、また科学者チームの新しい考え方を提案していることからリスクの高いものとなります。興味深いことに、ナノ医療には新しいタイプのプログラム開発とマネジメントがあります。これは国内各地の、細胞内の特定のモデルシステムを理解することに関心を持っている 8 つのセンターで実施されています。しかし、ここでの問題は、基礎科学者によるメンバーで研究を開始した場合、彼らは疾病や臨床研究については何も知識がないことです。そこで、我々には NIH の通常のプログラムとは異なる形でこのプログラムを開発しマネジメントしていくための、プログラムの初期の段階から「柔軟な研究を行う権限」が議会から与えられています。

さて、ナノ医療の特別プログラム開発について話しましょう。このプログラムは科学コミュニティからのインプットを受けて開始しました。最初は、プログラムの目標に合致するアイデアを 5 ページの白書（報告書）として広く募集しました。87 件の応募（補助

金申請)のうち、審査の結果 20 件が企画賞を受賞し、その 20 件のうち 8 つのセンター (研究グループ) が資金提供を受けました。

この特別プログラムは審査プロセスも異なっています。我々は特別な審査委員会を設け、これには NIH の PO も含めました。このプログラムでは予備実験データは必須ではなく、その代わり研究者の熱意が不可欠でした。この採点は通常の NIH 方式とは異なり、申請案件の選定には審査委員会と PO が全面的に責任を持ちます。また、その申請が助成金を受けた後も、モデルシステムや研究の方向を変更することのできる自由度がより広く認められています。

このプログラムが他のプログラムと異なる点はもう 1 つありますが、それは資金提供を受けたセンター (研究グループ) が他の協力関係や競合関係にあるセンター (研究グループ) のネットワークとして機能したということです。この研究には NIH の 15 名の PO も関与しましたが、彼らはこの研究のコントロールは行っていません。一般に NIH はハイリスクハイリターンの研究に対して資金提供を行わないとして非難されますが、特定の分野について我々から申請を募集した場合、その採択率は NIH のその他のプログラムに比べて非常に高いものがあります。

さらに、ロードマップ内にもパイオニア補助金 (Pioneer Award) や新規革新補助金 (New Innovators Award) などのプログラムがあります。このパイオニア補助金は、まだ試されていないが画期的なものとなる可能性のあるアイデアを持つ個人をサポートするものです。パイオニア補助金にも、ナノ医療の場合とは異なる独自の審査プロセスがあります。このプログラムは 2004 年からあり、その採択率はわずか 3.3%です。最高レベルの人材を集めていますが、20 年後になって初めてこれが成功だったかどうか分かるでしょう。

次に、ロードマップ上の最新のプログラムとして、トランスフォーマティブ R01 プログラムがありますが、これは基本的なパラダイムを創造するかあるいは覆す可能性のあるプログラムです。これは通常のファンディングの範囲内のプログラムですが、事前データは不要で、従来とは異なる審査プロセスが適用され、予算に上限枠は設定されていません。このプログラムには今年 739 件の補助金申請があり、現在はその審査が行われており、まだ補助金提供を決定した案件はありません。

結論として、CREST、PRESTO、ERATO (注 2) や、NSF の説明から理解される重要なメッセージは、研究資金の提供には様々な方法があるということです。NIH の問題は、新しいプログラムやメカニズムを開発せず、これまでと同じやり方でやってきたことにあります。

最後に、今回の講演の機会をいただいた JST に感謝いたします。ありがとうございました。

(注 1) トランスフォーマティブ研究(Transformative Research)は近年米国で提唱されている新たな研究概念であり、「革新的研究」と訳される場合もあるが、要は「ハイリスクであるが成功した場合にはインパクトの大きい研究」というような意味である。

(注 2) CREST, PRESTO, ERATO は、(独) 科学技術振興機構のファンディングプログラムである。

以上

---