



GAPFREE2

マッチングスキームのご案内

国立研究開発法人日本医療研究開発機構
戦略推進部医薬品研究課

国立研究開発法人日本医療研究開発機構（以下「AMED」という。）では、平成28年度創薬基盤推進研究事業において産学官共同リバーズ・トランスレーショナル・リサーチプロジェクト（GAPFREE2）を実施することを検討しています。

本プロジェクトでは、既存薬をツール化合物として用いた臨床研究（介入試験）等（以下単に「介入試験」という。）をキックオフとした産学官連携による創薬研究を行うものとして、アカデミア・製薬企業からなるコンソーシアムの構築を前提としています。

このようなことから、AMEDとしては、プロジェクトの概要を情報提供した上で、アカデミア及び製薬企業の双方の希望を踏まえたコンソーシアムの構築のため、アカデミアと製薬企業との本プロジェクトにおけるマッチングを支援します。

1. 目的

従来の創薬手法では、ヒト・動物間の種差等の問題から、完全にヒトの病態や生理機能を踏まえた研究開発を行うことが困難であり、治験への着手に至ったとしても、有効性欠如等により開発を断念せざるを得ないケースも多くみられるなど、臨床予測性が創薬研究の最大のハードルとなっています。特に、治療薬のない領域では、臨床予測性は全くの未知であり、製薬企業の研究開発着手には大きなリスクを伴います。

しかしながら、動物実験や経験・疫学的見地により有効性が知られている既存薬をツール化合物として、これを用いた介入試験から創薬研究を開始し、この介入試験により得られた試験データを創薬基礎・応用研究にフィードバックすることにより、例えば、①ヒトの病態・生理機能を踏まえた創薬標的の同定、②ヒト動物共通のバイオマーカーの選定、③臨床成績と矛盾のないモデル動物の構築が可能となるなど、創薬初期段階から、臨床予測性を飛躍的に向上させ、革新的医薬品の開発が可能となることが期待されています。

具体的には、①アカデミアにあっては、既存薬をツール化合物として用いた介入試験をキックオフとして創薬研究を実施し、②参画する製薬企業（以下「参画企業」という。）にあっては、介入試験により得られた試験データ及び臨床検体並びにアカデミアによる創薬研究の成果を活用して、革新的医薬品（新有効成分含有医薬品）の研究開発につなげることを目的とするものです。

2. 本プロジェクトの特徴

本プロジェクトは、参画企業も一定の研究費を拠出の上、その研究成果を製薬企業による創薬等につ

なげること前提としています。

このため、アカデミアにおいて、参画企業が研究開発等を行いたいとする疾患領域や、その研究開発等のキックオフとして行う介入試験について、アカデミア・参画企業からなるコンソーシアムの目指す創薬ゴールに基づき、研究計画（プロトコル）を構築することが基本となります。

また、本プロジェクトは、研究費の多くが参画企業により拠出されることなどを踏まえ、介入試験により得られた試験データ及び臨床検体を参画企業に提供するほか、アカデミアの研究成果に係る公表及び知的財産権等の取扱いについては、革新的医薬品としての実用化を最優先とした取扱いを講じることとしています。

このような取扱いを講ずる一方で、アカデミア側としても、一定規模の研究費をもって、研究開始時点から製薬企業とタイアップすることにより、自らの研究成果をいち早く実用化につなげることができるとともに、観察期間終了後となる研究プロジェクト終了後に介入試験の論文公表等も行えるなど、アカデミアとしての役割も十分に発揮できる仕組みを講じております。

なお、本プロジェクトは、介入試験に用いるツール化合物の効能追加を目的とするものではなく、あくまでも、新たな革新的医薬品の研究開発につなげることを目的としたものであることに留意する必要があります。

また、参画企業においても、本プロジェクトは参画企業による研究開発中の品目のgo/no go判断を目的とするものではないことなど、参画に当たっては、本プロジェクトは公的な資金を原資としたものであることを踏まえる必要があります。

3. 研究概要

(1) 研究内容

① アカデミア

ア 介入試験の実施

動物実験や経験・疫学的見地により有効性が知られている既存薬をツール化合物として、これを用いた介入試験を実施

イ 臨床検体の収集

介入試験を通して、臨床情報の付随した臨床検体を収集

ウ 創薬基礎・応用研究の実施

介入試験により得られた試験データ、臨床検体等を活用して、創薬基礎・応用研究を実施

【ウの研究例】

- ・ ヒトの病態・生理機能を踏まえた創薬標的の同定
- ・ ヒト動物共通のバイオマーカーの選定
- ・ 臨床成績と矛盾のないモデル動物の構築
- ・ その他

エ 介入試験データ及び臨床検体の提供

介入試験により得られた試験データ及び臨床検体の一部について、参画企業へ提供

② 参画企業

オ 自社研究

提供された試験データ、臨床検体等を活用して、創薬基礎・応用研究を実施

(2) 研究体制

① アカデミア

3. (1) ①の研究を実施できる研究体制を構築してください。

なお、介入試験は多施設共同試験として実施しても差し支えありません。

② 参画企業

複数の製薬企業等が協同して、1つの疾患領域に参画することができます。ただし、この場合、3. (1) ②オの自社研究及びそれによる知的財産権等の取扱い並びに参画企業拠出分の研究費の按分等について、協同した参画企業間で取り決めておく必要があります。

また、同一の製薬企業又は協同した複数の製薬企業等が、複数の疾患領域に参画することもできます。

(3) 研究形態等

3. (1) ①ア及びイの研究については、アカデミアにおいて、アカデミア・参画企業からなるコンソーシアムの目指す創薬ゴールに基づき、研究計画（プロトコル）を構築した上で、その実施について、アカデミアの責任の下で行われるアカデミア主導の臨床研究となります。

3. (1) ①ウの研究については、アカデミアの主体的な研究を可能とするほか、アカデミア及び参画企業の双方の合意に基づき一体的に実施する共同研究を行うことも可能です。

なお、3. (1) ①の研究については、その研究形態にかかわらず、3. (5) に記載した研究成果に係る公表及び知的財産権等の取扱いを取り決める必要があります。

また、3. (1) ②オの研究については、参画企業の裁量による研究であり、その研究内容、研究形態等についてAMEDが関知するものではありません。

このほか、3. (1) ①エの提供については無償とし、参画企業への臨床検体の提供については、分譲の形態となります。

(4) 費用

① 研究費の規模（1疾患領域あたり）

AMED拠出分	1年あたり60,000千円（間接経費含む。） （平成28年度から最長5年度）
参画企業拠出分	1年あたり40,000千円 （平成29年度から最長4年度）

* 参画企業拠出分の研究費について間接経費を拠出していただく必要はありません。

② 研究実施期間：最長5年度（平成28年度～平成32年度）

③ 新規採択課題数：0～3疾患領域程度

* 各疾患領域の研究成果を異なる疾患領域の参画企業が利用することはできません。

④ 研究費に関する留意点

ア 研究費の規模については、今後の予算状況等により変動することがあります。1疾患領域当たりのAMED拠出分の研究費が減少した場合、それに比例して、参画企業拠出分の研究費も減少するものとします。

イ 参画企業拠出分の研究費については、いったん、AMEDが受け入れることとなります。AMEDが受け入れた参画企業拠出分の研究費には消費税が課されます。

ウ 3. (1) ②オの自社研究は、3. (4) ①に掲げる費用ではなく、参画企業自らの資金等により行ってください。

(5) 成果の取扱い

アカデミアの研究成果の取扱い等については、革新的医薬品としての実用化を最優先することを踏まえて、疾患領域毎に、アカデミアと参画企業との間で別途締結される共同研究契約等により規定されることとなりますが、その内容は概ね次のとおりです。

① 公表

アカデミアの研究成果に係る公表については、介入試験にあっては、観察期間終了後となる本プロジェクト終了後に公表（臨床試験登録システムへの登録を除く。）するものとし、創薬基礎・応用研究にあっては、本プロジェクト終了から一定期間後に公表できるものとし、それまでは、原則として、公表に際し参画企業による事前の了解を必要とします。

また、参画企業も、原則として、アカデミアから提供された試験データ等を公表することはできません。

② 知的財産権等

アカデミアの3. (1) ①ウの研究成果に係る知的財産権等については、特許出願に際しては参画企業による精査を基本とするとともに、アカデミアの研究成果の導出に当たっては参画企業に優先交渉権を付与します。

なお、3. (1) ①オの自社研究の成果に係る知的財産権等については、一義的には、参画企業に帰属します（共同研究等の実施により知的財産権等を他者と共有すること等を妨げるものではありません）。

③ その他

参画企業が、3. (5) ②の優先交渉の結果、その知的財産権等の導入を辞退した場合は、AMED創薬支援戦略部において実用化に向けた支援の可否について検討されます。アカデミアと協議の上、AMED創薬支援戦略部における支援テーマとして採択された場合は、その取扱いは、創薬支援ネットワークの規定等によることとなります。

(6) 途中離脱の取扱い

研究開始後1年以内に、アカデミアと参画企業が協議の上、研究開始後3年度目における到達目標をあらかじめ定めるものとし、当該目標に到達していない場合においては、参画企業はコンソーシアムから離脱することができます。

ただし、離脱する場合、原則として、公表及び知的財産権等に関して、参画企業は本プロジェクトへの参画により得られる一切の権利を失うこととなります。

(7) 共同研究契約等について

アカデミアと参画企業による本プロジェクトにおける共同研究契約ひな形（案）は別添のとおりです。契約締結自体はアカデミアと参画企業の当事者間で交渉・締結作業を進めることとなります。

なお、アカデミア及び参画企業の双方の合意により、本ひな形の細部の変更等は可能ですが、上述した本プロジェクトの委託趣旨を逸脱することのないよう、本ひな形を基本として契約締結を進めていただくことになります。

(8) 研究計画の変更等について

3. (1) ①ア及びイの研究については、被験者の安全性確保等の観点から研究計画（プロトコール）変更を要する場合を除き、当初の研究計画をもって製薬企業の参画が判断されたこと等を踏まえ、当初の研究計画を変更しないことを原則とし、変更する場合にあっても、アカデミア・参画企業からなるコンソーシアムの目指す創薬ゴールに基づくものとし、アカデミア及び参画企業の双方の合意によるものとします。

なお、3. (1) ①アの介入試験について、有効例が見られない場合など、やむを得ない場合にあっては、アカデミア及び参画企業の双方の合意により、AMEDと協議した上で、例えば、観察研究及びそれにより得られる臨床検体に基づく創薬研究等に切り替えるなどすることも、研究計画等が妥当な場合には可能とします。

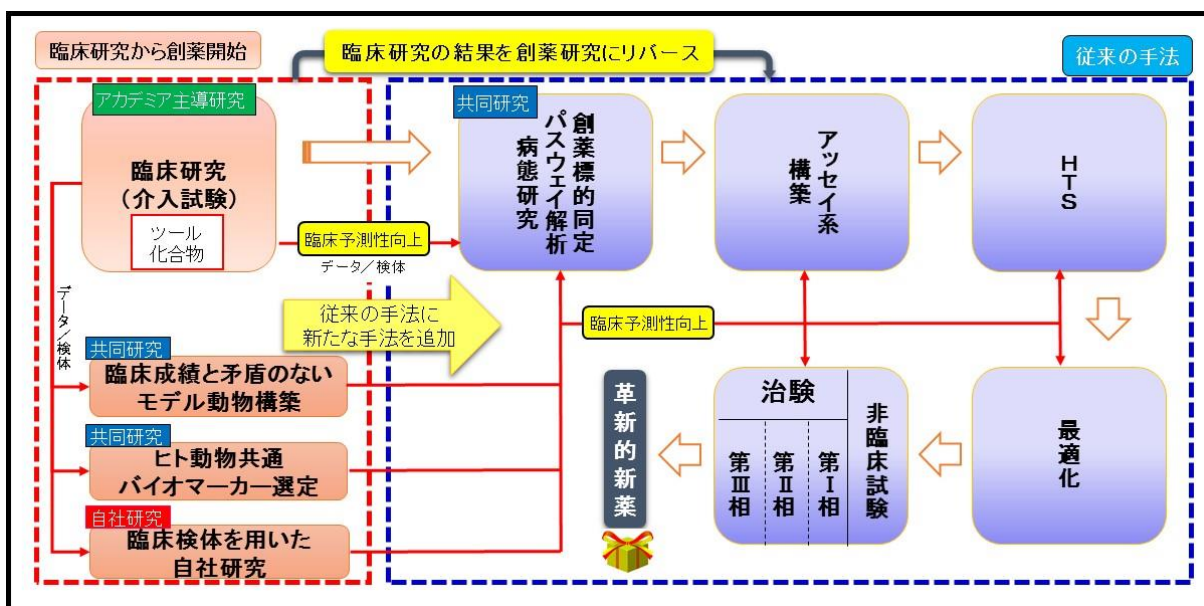
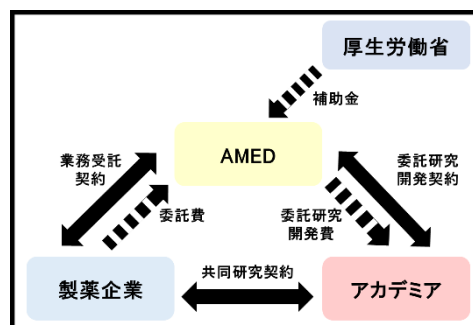
(9) その他

平成28年度においては、介入試験の詳細なプロトコール策定、必要な機器の整備等の準備研究を実施していただき、遅くとも、平成29年度当初頃から介入試験等の実質的な研究が開始できるようにすることが求められます。

(10) 概略図

- ① 契約・資金の流れ（右図）
- ② リバース・トランスレーショナル・リサーチイメージ（例）（下図）

* 図示したすべての内容を本研究費により実施していただくものではありません。



4. マッチングスキームについて

本プロジェクトへの応募を希望するアカデミアと参画企業とのAMEDによるマッチングを希望される場合、次の手順等に従い、本スキームを利用してください。

なお、公募申請するに当たり、本スキームの利用は必須となるものではありません。

(1) 参画検討企業による検討希望・ニーズ登録 (6月7日正午〆切) (ステップ1)

参画を検討している企業（以下「参画検討企業」という。）は、検討希望書（様式1-1）をAMEDに登録してください。

また、検討希望書の登録に際し、企業ニーズ概要書（様式1-2）を添付できます（複数登録可）。企業ニーズ概要書は添付しなくても差し支えありません。登録のあったすべての企業ニーズ概要書については、企業名を伏せた上で、AMEDホームページ上で公開します。

参画検討企業は、このような取扱いを理解した上で、企業ニーズ概要書を作成してください。

(2) アカデミアによる提案登録 (7月5日正午〆切) (ステップ2)

応募を検討しているアカデミアは、ステップ1で公開される企業ニーズ概要書を踏まえ、本プロジェクトに応募しようとする研究の概略を記載した提案書（様式2）をAMEDに登録してください（1総括研究開発代表者につき3つまで登録可）。

なお、企業ニーズ概要書にかかわらず、独自の発想に基づく提案書を登録することも可能です。

AMEDは、登録のあったすべての提案書について、管理番号を付した上で、ステップ1で登録のあったすべての参画検討企業へ随時送付します（付した管理番号は提案元のアカデミアにもフィードバックします。）。

アカデミアは、このような取扱いを理解した上で、提案書を作成してください。

(3) 参画検討企業による要望登録 (7月26日正午〆切) (ステップ3)

参画検討企業は、ステップ2で送付された提案書のうち、参画を検討しようとするものについて、管理番号を記載の上、当該提案に対する要望書（様式3）をAMEDに登録してください（複数登録可）。

AMEDは、要望書について、提案元のアカデミアへ随時送付します。

(4) アカデミアによる要望に対する検討結果登録 (8月19日正午〆切) (ステップ4)

ステップ3で要望書を送付されたアカデミアは、管理番号を記載の上、要望に対する検討結果書（様式4）をAMEDに登録してください。

AMEDは、検討結果書について、要望元の参画検討企業へ随時送付します。

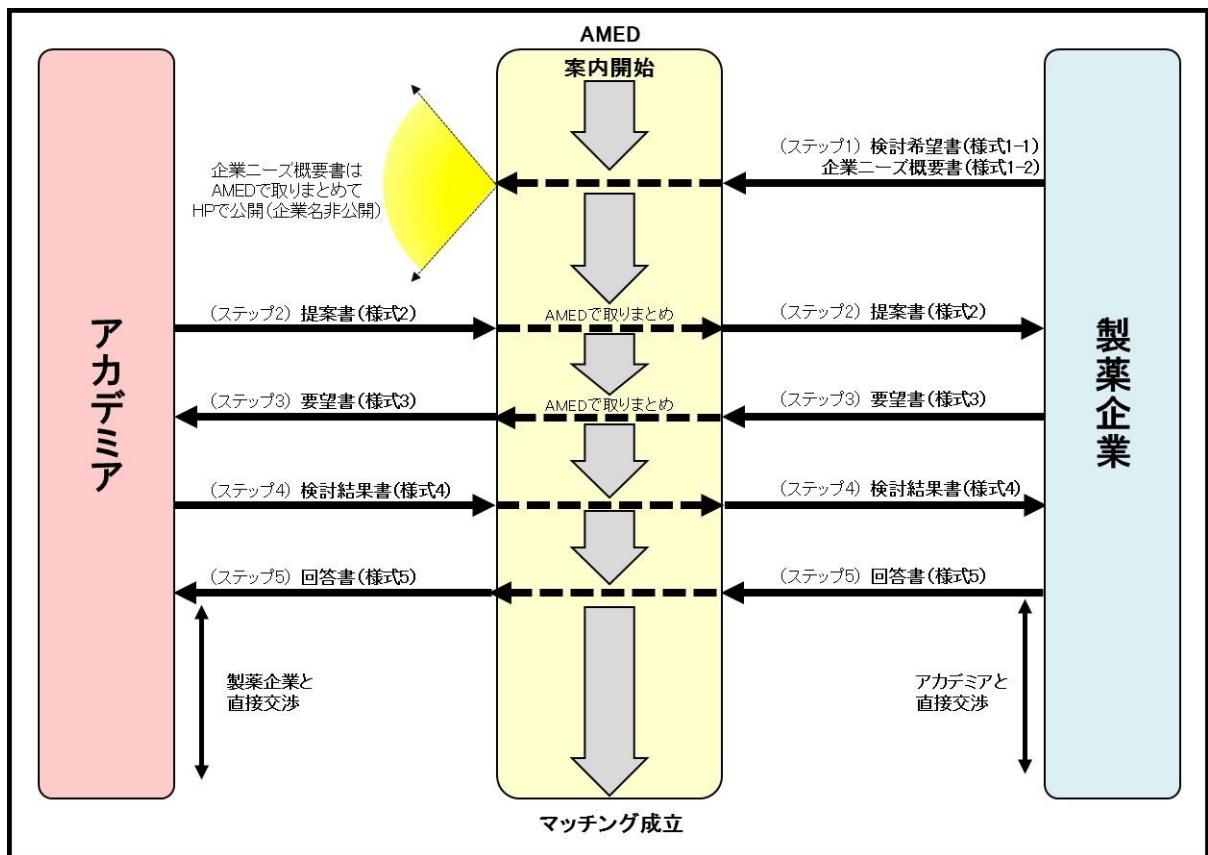
(5) 参画検討企業による交渉開始可否に係る回答登録 (9月9日正午〆切) (ステップ5)

ステップ4で検討結果書を送付された参画検討企業は、管理番号を記載の上、交渉開始可否に係る回答書（様式5）をAMEDに登録してください（ステップ4の検討結果書において、アカデミアより、『マッチングを断念します。』とされた場合を除く。）。

AMEDは、回答書について、提案元のアカデミアへ随時送付します。

なお、回答書において、『マッチングに向けた直接交渉を希望します。』とされた場合、参画検討企業とアカデミアは、公募申請に向けて直接交渉を開始してください。

(6) マッチングの流れ図



5. スキーム利用にあたって

(1) 留意事項

ア 参画検討企業の資格要件は次のとおりです。

- ・ 本邦内に研究所を有し、3. (1) ②オの自社研究を当該研究所で実施できること。
- ・ 過去10年以内に、本邦において、医療用医薬品のうち、「新有効成分含有医薬品」の承認実績を有すること。

イ 本スキームにより得られるすべての情報については、公開情報を除き、本プロジェクトにおけるマッチングの目的で検討することのみに使用し、それ以外の目的で第三者に開示しないことが前提となります。

ウ 同一のアカデミアが、同一又は同様の提案研究について、複数の参画検討企業とマッチング成立に向けた交渉を進めることは可能ですが、参画企業の独占性を確保するため、公募においては、同一又は同様の提案研究について、参画企業を変えること等により、異なるものとして応募することはできず、成立したいずれか1つのマッチングのみ応募することができます。

同一又は同様の提案研究が、複数応募された場合、公募要件を満たさないものとして、すべて採択されないこととなります。

エ 参画検討企業は、自社品のみの介入試験からなる研究に参画することはできません。

ただし、介入試験により得られる試験データを補強する等の観点から、介入試験のアームの一部に、副次的な目的のため、参画企業の自社品が使用されることは差し支えありません。

オ 各様式は、AMEDからアカデミア又は参画検討企業に随時送付することとしており、AMEDに登録した各様式の差し替えはできません。

(2) 複数製薬企業等による協同参画

ア 複数の製薬企業等が協同して参画を検討する場合、従たる参画検討企業について5. (1) アの資格要件の一部を適用しないこと等があります。

イ 複数の製薬企業等が協同して参画することを検討する場合、各様式には、複数の企業名を併記してください。この場合、代表企業を決めていただき、AMEDから送付される資料・情報については、代表企業から、他の参画検討企業へ転送・連絡してください。

なお、マッチングスキームの途中から、複数の製薬企業等が協同して参画を検討することとなった場合、それ以後に作成する様式から、複数の企業名を併記してください。

また、ステップ1において、個社による参画に加えて、複数の製薬企業等が協同した参画も検討している場合、個社による登録を行い、それとは別に、代表企業を決めていただいた上で、別途、登録してください。

ウ 一つの製薬企業が、個社による登録と複数の製薬企業等による登録の両方を行っている場合、AMEDは、それぞれに対して、必要な資料・情報を送付することになります。参画検討企業としても、個社による検討と複数の製薬企業等による検討のいずれの立場で対応すべきものを適切に管理してください。

エ 複数の製薬企業等による協同参画を呼びかけることを目的として、検討希望書（様式1-1）、企業ニーズ概要書（様式1-2）及び要望書（様式3）に、他社への情報提供の可否に関するチェック欄も設けています。

なお、企業ニーズ概要書ごとに、他社への情報提供の可否を判断しても差し支えありません。

また、個社による参画に加えて、複数の製薬企業等が協同した参画も検討している場合、それぞれについて、他社への検討希望書に係る情報提供の可否を判断しても差し支えありません。

(3) 電話・テレビ・対面会議

ア ステップ3及びステップ4については、アカデミア及び参画検討企業の双方が希望する場合には、マッチングスキームの下、電話会議、テレビ会議又は対面会議を開催することができます。

イ 要望書（様式3）及び検討結果書（様式4）に、電話会議、テレビ会議又は対面会議開催の希望欄を設けています。

- ・ 【要望書の場合】参画検討企業が『電話・テレビ・対面会議開催を希望します。』とした場合であって、アカデミアも会議開催を希望するときは、アカデミアから参画検討企業に連絡の上、電話会議、テレビ会議又は対面会議を開催してください。

- ・ 【検討結果書の場合】アカデミアが『電話・テレビ・対面会議開催を希望します。』とした場合であって、参画検討企業も会議開催を希望するときは、参画検討企業からアカデミアに連絡の上、電話会議、テレビ会議又は対面会議を開催してください。

ウ 電話会議、テレビ会議又は対面会議を開催するときは、あらかじめ、アカデミア又は参画検討企業のいずれかから、AMEDへ登録してください（メール本文に管理番号及び会議を開催する旨を記載することで差し支えありません。）。

エ 上述した電話会議、テレビ会議又は対面会議は、あくまでも、要望又は回答の趣旨を相手方にわかりやすく伝えるためのものであることに留意してください。

また、日程調整、機器の調達、会議室の確保等については、それぞれの責任で対応してください。

(4) 様式の作成・登録方法

ア 様式はすべてPDFファイル（文書に関する制限の無い形式）に変換の上、ファイルのプロパティに個人情報は含まれないようにして、登録してください。

イ 企業ニーズ概要書（様式1-2）、提案書（様式2）、要望書（様式3）及び検討結果書（様式5）については、【表紙】と【本文】を併せて1つのPDFファイルとして作成してください。

ウ 各様式を複数登録するときは、【表紙】と【本文】がある様式については【表紙】と【本文】を併せて1つのPDFファイルとした上で、複数のPDFファイルに分けて登録してください。

エ メール件名及び添付ファイル名は各様式の指示にしたがってください。

オ 登録に当たっては、次の専用メールアドレスに送信してください。なお、添付ファイルは8MB以内としてください。

戦略推進部医薬品研究課メールアドレス： gapfree “AT” amed. go. jp
E-mailの“AT”を@に変えてください。

(5) 説明会

マッチングスキームについて説明会の開催を予定しています。

詳しくは、次のウェブサイトに掲載します。

<http://www.amed.go.jp/program/list/01/01/004.html>

* 説明会への参加がマッチングに当たり必須となるものではありません。

6. その他

今後、正式な公募を行うこととしており、詳細については、公募要領によりお知らせします。

なお、公募要領により、本書に記載された事項の全部又は一部について、変更される場合があります。