

国立研究開発法人 日本医療研究開発機構
平成 29 年度 難治性疾患実用化研究事業 1 次公募 公募説明会プログラム

日時：平成 28 年 11 月 18 日（金） 15:00～

場所：大手町ファーストスクエアカンファレンス RoomB

15:00～15:05 難病研究課長挨拶

15:05～15:20 本事業及び各公募の共通事項に関する説明

15:20～16:25 各公募研究開発課題の説明

15:20～15:35 希少難治性疾患の克服に結びつく独創的な病態解明研究

15:35～15:55 希少難治性疾患に対する画期的な医薬品医療機器等の実用化に関する研究（ステップ 0、1、2）

15:55～16:10 診療に直結するエビデンス創出研究

16:10～16:25 オミックス解析を通じて希少難治性疾患の医療に貢献する基盤研究（オミックス解析拠点）

※質疑応答時間を含む。

16:30～17:30 質疑応答

※希望者のみ個別に会場の簡易ブースにてお受けします。
※希望者の数に応じて一人当たりの時間を制限させていただく可能性があります。



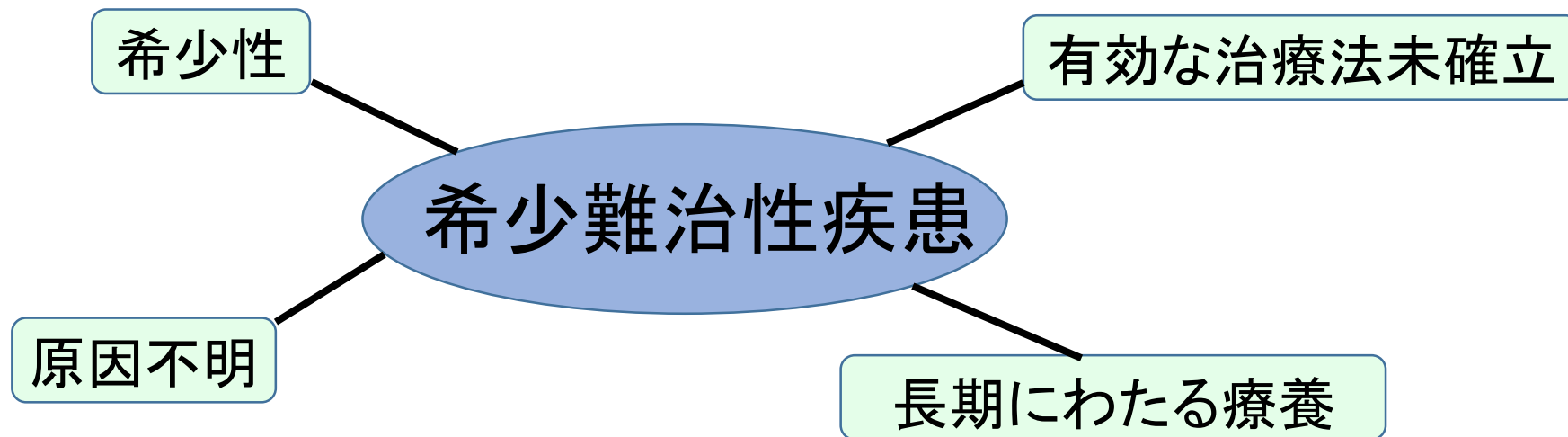
国立研究開発法人日本医療研究開発機構
Japan Agency for Medical Research and Development

難治性疾患実用化研究事業 2017年度1次公募 公募説明会

国立研究開発法人 日本医療研究開発機構
戦略推進部 難病研究課

AMEDが扱う連携分野

	連携分野（事項）	主な事業内容
1	オールジャパンでの医薬品創出	新薬創出に向けた支援機能の強化を図るとともに、革新的医薬品等の開発を推進する。
2	オールジャパンでの医療機器開発	医療ニーズに応える医療機器開発とその支援体制を整備する。
3	革新的医療技術創出拠点プロジェクト	シーズへの支援を基礎研究段階から実用化までシームケスに実施できる拠点を医療法の成立も踏まえ強化・充実を図るとともに、革新的医療技術の実用化を促進する。
4	再生医療の実現化ハイウェイ構想	平成27年度末までに更なる研究課題の臨床研究段階への移行を目指すとともに、再生医療等製品開発を促進する。
5	疾病克服に向けたゲノム医療実現化プロジェクト	臨床応用に向けたバイオバンク・ジャパンと国立高度専門医療研究センター等との共同研究を推進する。
6	ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト	がん医療の実用化を「がん研究 10か年戦略」に基づき加速する。
7	脳とこころの健康大国実現プロジェクト	認知症・精神疾患等の克服に向けた取組を加速する。
8	新興・再興感染症制御プロジェクト	病原体全ゲノム情報等の集積・解析等を一層推進し、薬剤ターゲット部位の特定に繋げる。
9	難病克服プロジェクト	平成26年5月に難病の患者に対する医療等に関する法律が成立したことを踏まえ、研究開発を一層推進する。



本事業の目的

希少・難治性疾患（難病）の克服を目指すため、治療法の開発に結びつくような新しい疾患の病因や病態解明を行う研究、医薬品・医療機器等の実用化を視野に入れた**画期的な診断法や治療法及び予防法**の開発をめざす研究を推進する。

*「がん」「生活習慣病」「精神疾患」等、他の事業において組織的な研究の対象となっている疾病等は本事業の対象としません

研究開発パイプライン

平成28年度予算規模: 85.9億

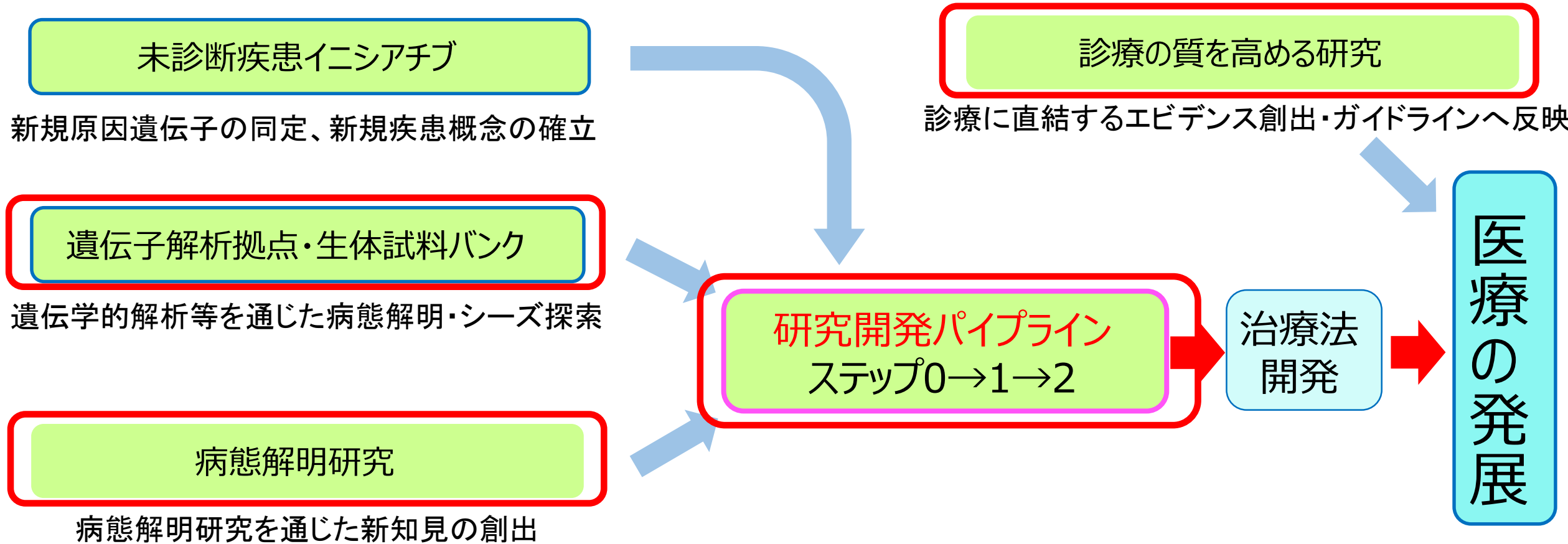
- ①革新的な医薬品等の開発を促進させる研究(ステップ0: シーズ創出) 68課題
- ②希少・難治性疾患に対する新たな医薬品等医療技術の実用化に関する研究(ステップ1: 治験準備) 10課題
- ③希少・難治性疾患に対する新たな医薬品等医療技術の実用化に関する研究(ステップ2: 治験施行) 24課題

- ④診療の質を高める研究 58課題

基盤研究

- ⑤疾患群毎の集中的な遺伝子解析及び原因究明に関する研究 6課題
- ⑥生体試料の収集と活用による病態解明を推進する研究 2課題
- ⑦未診断疾患イニシアチブ 2課題
- ⑧希少・難治性疾患の克服に結びつく病態解明研究(若手) 10課題

難治性疾患実用化研究事業



各研究課題の成果が医療の発展につながる切れ目のない研究支援

難治性疾患実用化研究事業 2017年度1次公募

#	分野等、公募研究開発課題名		研究開発費の規模 (1課題年間) (間接経費含む)	研究開発 予定期間	採択予定数
1	希少難治性疾患の克服に結びつく独創的な病態解明研究				
2-1	希少難治性疾患に対する 画期的な医薬品医療機器等の 実用化に関する研究	薬事承認を目指す シーズ探索研究 (ステップ0)			
2-2		治験準備 (ステップ1)	30,000千円～ 80,000千円程度	最長3年	0～4課題 程度
2-3		医師主導治験 (ステップ2)	50,000千円～ 150,000千円程度	最長3年	0～4課題 程度
3	診療に直結するエビデンス創出研究		10,000千円程度	最長3年	0～20課題 程度
4	オミックス解析を通じて希少難治性疾患の医療に 貢献する基盤研究(オミックス解析拠点)		30,000千円～ 150,000千円程度	最長3年	0～8課題 程度

若手研究者(満45歳以下)が研究
開発代表者となり、独創的な視点
で病態解明研究を行う研究課題

難治性疾患実用化研究事業 2017年度1次公募

#	分野等、公募研究開発課題名		研究開発費の規模 (1課題年間) (間接経費含む)	研究開発 予定期間	採択予定数
1	希少難治性疾患の克服に結びつく独創的な病態解明研究		13,000千円程度	最長3年	0～10課題程度
2-1	希少難治性疾患に対する 画期的な医薬品医療機器等の 実用化に関する研究	薬事承認を目指す シーズ探索研究 (ステップ0)	10,000千円～ 30,000千円程度	最長3年	0～40課題程度
2-2		治験準備 (ステップ1)			
2-3		医師主導治験 (ステップ2)			
3	診療に直結するエビデンス創出研究		10,000千円程度	最長3年	0～20課題程度
4	オミックス解析を通じて希少難治性疾患の医療に貢献する基盤研究(オミックス解析拠点)		30,000千円～ 150,000千円程度	最長3年	0～8課題程度

最終的に薬事承認を目標として、
医薬品や医療機器等の開発を行う研究課題

難治性疾患実用化研究事業 2017年度1次公募

#	分野等、公募研究開発課題名		研究開発費の規模 (1課題年間) (間接経費含む)	研究開発 予定期間	採択予定数
1	希少難治性疾患の克服に結びつく独創的な病態解明研究		13,000千円程度	最長3年	0～10課題程度
2-1	希少難治性疾患に対する 画期的な医薬品医療機器等の 実用化に関する研究	薬事承認を目指す シーズ探索研究 (ステップ0)	10,000千円～ 30,000千円程度	最長3年	0～40課題程度
2-2		治験準備 (ステップ1)	30,000千円～ 80,000千円程度	最長3年	0～4課題程度
2-3		医師主導治験 (ステップ2)			
3	診療に直結するエビデンス創出研究				
4	オミックス解析を通じて希少難治性疾患の医療に 貢献する基盤研究(オミックス解析拠点)		150,000千円程度		程度

ガイドラインのクリニカルクエッションの解決に結びつくエビデンス創出を行う研究課題

難治性疾患実用化研究事業 2017年度1次公募

#	分野等、公募研究開発課題名		研究開発費の規模 (1課題年間) (間接経費含む)	研究開発 予定期間	採択予定数
1	希少難治性疾患の克服に結びつく独創的な病態解明研究		13,000千円程度	最長3年	0～10課題程度
2-1	希少難治性疾患に対する 画期的な医薬品医療機器等の 実用化に関する研究	薬事承認を目指す シーズ探索研究 (ステップ0)	10,000千円～ 30,000千円程度	最長3年	0～40課題程度
2-2		治験準備 (ステップ1)	30,000千円～ 80,000千円程度	最長3年	0～4課題程度
2-3		医師主導治験 (ステップ2)			
3	診療に直結するエビデンス創出研究				
4	オミックス解析を通じて希少難治性疾患の医療に 貢献する基盤研究(オミックス解析拠点)		30,000千円～ 150,000千円程度	最長3年	0～8課題程度

オミックス解析を通じて、臨床現場へ解析結果を還元し、希少難治性疾患の分子メカニズムの解明を行う研究課題

難治性疾患実用化研究事業 2017年度1次公募 スケジュール



公募時期: 2016年11月1日(木)～12月7日(水)正午



書面審査: 2016年12月中旬～2017年1月上旬頃



ヒアリング審査: 2017年1月27日(金)、2月3日(金)
* 対象者に1週間前までに電子メールで通知



採否通知: 2017年2月下旬～3月上旬



研究開発計画書等の資料作成

研究開発開始: 2017年4月1日(予定)

留意点①

e-Radについて

- ・「研究開発代表者」から「所属機関」にe-Radで申請した段階では応募は完了していません。**所属機関の承認**の手続きを必ず行って下さい。
- ・期限を過ぎたら原則受付はできません。

留意点②

プロトコルについて

医師主導治験や臨床試験及びそれらを目指した非臨床試験を行う研究では、**治験計画書やプロトコル**(目的、対象、選択基準、除外基準、症例数、観察内容、介入内容、統計的手法、研究体制等の情報を含む)(様式自由;応募時点で未実施の場合は案で可)等の**臨床研究に関する資料等を添付**していただきます。

留意点③

難治性疾患政策研究事業との連携について

研究開発提案における対象疾患をカバーする(対象とする)
厚生労働省難治性疾患政策研究事業の研究課題(難治性疾患政策研究班)が存在する場合は連携することが望ましい。

難治性疾患政策研究班等が当該疾患の**レジストリ**を既に構築している場合は重複がないように配慮すること。

留意点④

各公募課題のポイント

①病態解明研究(若手)

→**独創性**がある研究提案を重視します。

②医薬品医療機器等の開発研究

→**企業連携**の有無や**早期導出**の計画内容を評価します。

③エビデンス創出研究

→**診療に直結するエビデンス**を構築する研究課題です。未承認薬、適応外薬等の開発は対象としていません。

④オミックス解析研究

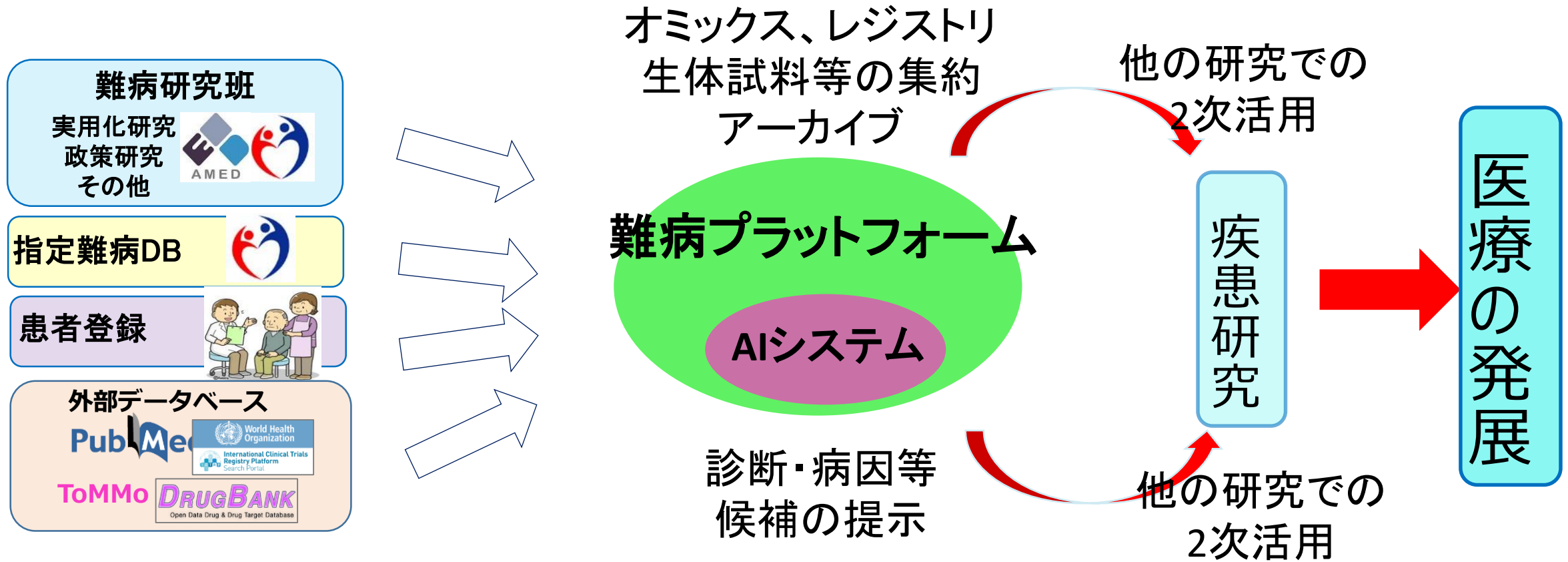
→**AMEDが指定するデータベース**へのデータシェアリングを求めます。

難治性疾患実用化研究事業 2016年度3次公募

公募期間:2016年11月15日～12月12日

希少難治性疾患・未診断疾患の研究及び医療の発展に資する情報基盤構築研究

希少難治性疾患・未診断疾患に関する情報を集約、管理し、**他の研究で二次活用**できる**基盤（プラットフォーム）を構築**すること、及び、当該領域における診断や病因、創薬ターゲット等の候補を提示することができる**AIを用いたシステムを開発**することを目的としている。



研究開発費の規模：1課題あたり年間400,000千円程度（間接経費を含む）

研究開発予定期間：1年間

採択予定数：0～1課題

1.希少難治性疾患の克服に結びつく独創的な病態解明研究

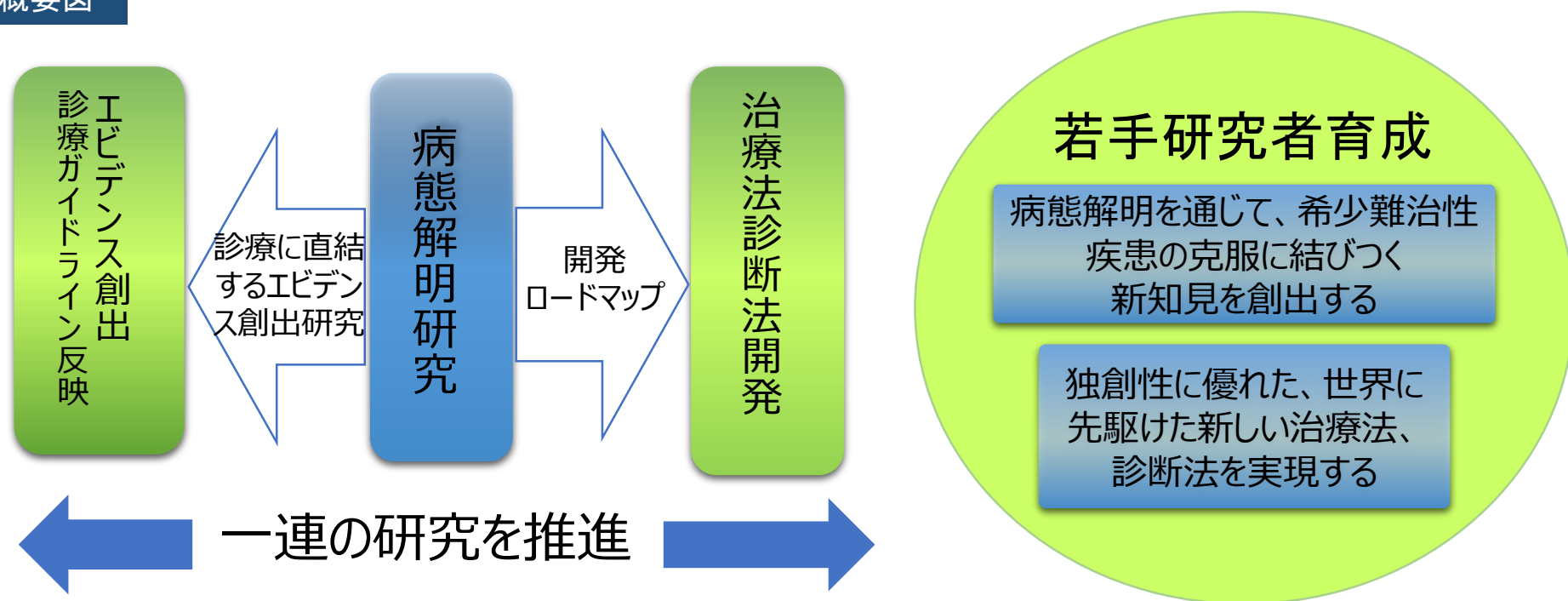
※公募要領p.44～p.47参照

1. 希少難治性疾患の克服に結びつく独創的な病態解明研究

目標

臨床応用を目的とした病態解明を行い、原則として研究開発期間終了時までには病態に関する画期的な発見、又は治療法や診断法の開発に資するシーズの発見等に至ることを目標とする。具体的には、本事業の「画期的な医薬品医療機器等の実用化に関する研究」又は「診療に直結するエビデンス創出研究」につながる成果が得られることを目標とする。

概要図



研究開発費の規模: 1課題あたり年間13,000千円程度(間接経費を含む)
研究開発予定期間: 最長3年間
採択予定数: 0~10課題

公募対象課題

- 研究開発代表者は2017年4月1日の時点において、満45歳以下の者(1971年4月2日以降に生まれた者)であること。
- 研究計画に独創性があり、病態解明研究を行う提案であること。
- 特定の疾患や特定の病態に関して解明していく課題であること。



1. 希少難治性疾患の克服に結びつく独創的な病態解明研究

目標

- 原則として研究開発期間終了時までには病態に関する画期的な発見、又は治療法や診断法の開発に資するシーズの発見等に至ることを目標とする。具体的には、本事業の「画期的な医薬品医療機器等の実用化に関する研究」又は「診療に直結するエビデンス創出研究」につながる成果が得られることを目標とする。



1.希少難治性疾患の克服に結びつく独創的な病態解明研究

求められる成果

- 病態の原因究明もしくは発症メカニズムの発見に関する画期的な発見を示す資料（原著論文と、原著論文のリファレンス数等）
- 治療法や診断法の開発に関する資料（知的財産に関する資料等）
- 企業等への導出を示す資料



原著論文・論文のリファレンス数



知的財産に関する資料



企業等への導出を示す資料

1.希少難治性疾患の克服に結びつく独創的な病態解明研究

研究提案書に求める内容

- 最終的に臨床応用されることを考慮に入れて、実現可能性が高い長期的なロードマップを作成して、当該研究疾患が治療法や診断法開発においてどの段階にあって、当該研究がどのような役割を果たすのかを明示すること。研究開発提案書内には、短期的な目標とともに、10年単位の長期的な目標についてもいつまでにどのような成果物(シーズなど)が提出できるかを明示すること。
- 目標を明確にするため、研究開発提案書に、当該研究により期待される科学的成果及び当該成果によりもたらされる学術的・社会的・経済的メリットを具体的に記載すること。
- 研究計画において、次のステップである「画期的な医薬品医療機器等の実用化に関する研究」又は「診療に直結するエビデンス創出研究」につながる成果が得られることを目指す計画を明示すること。また、研究計画のコンセプトの独創性を明確に記載すること。

当該疾患・病態の現状

- 治療法、診断法について

当該疾患・病態におけるこの研究の期待される成果及びもたらされるメリット

- 学術的メリット、•社会的メリット、•経済的メリット

研究計画の独創性

- 研究計画のコンセプト

次の目標

- 「画期的な医薬品医療機器等の実用化に関する研究」又は「診療に直結するエビデンス創出研究」

10年単位のロードマップ

- 成果物提出の時期と可能性

1.希少難治性疾患の克服に結びつく独創的な病態解明研究

提出資料

- 必須 : 提出がなければ不受理となる提出物
- 原則必須 : 存在する場合は提出が必須な提出物
- 任意 : 提出は必須ではないものの、提出された場合は審査に利用される提出物

資料番号	資料の位置づけ	提出物
1	必須	研究開発提案書
2	必須	研究開発提案内容チェックシート (希少難治性疾患の克服に結びつく独創的な病態解明研究用) 及び要約(英語及び日本語)
3	該当者は必須	産前・産後休業および育児休業を取得したことを所属機関の長が証明した書類(様式自由)
4	原則必須	プロトコール (目的、対象、選択基準、除外基準、症例数、観察内容、介入内容、統計的手法、研究体制等の情報を含む)(様式自由) (プロトコールの提出が困難である場合は、プロトコール案もしくはプロトコール概要等、実施予定の研究のモデルがわかる資料)
5	任意	提案する研究開発課題に関連する学術雑誌等に発表した論文・著書、寄与した臨床指針・ガイドラインのうち、主なもの・最新のものの本文

2.希少難治性疾患に対する画期的な医薬品医療機器等の 実用化に関する研究

※公募要領p.48～54参照

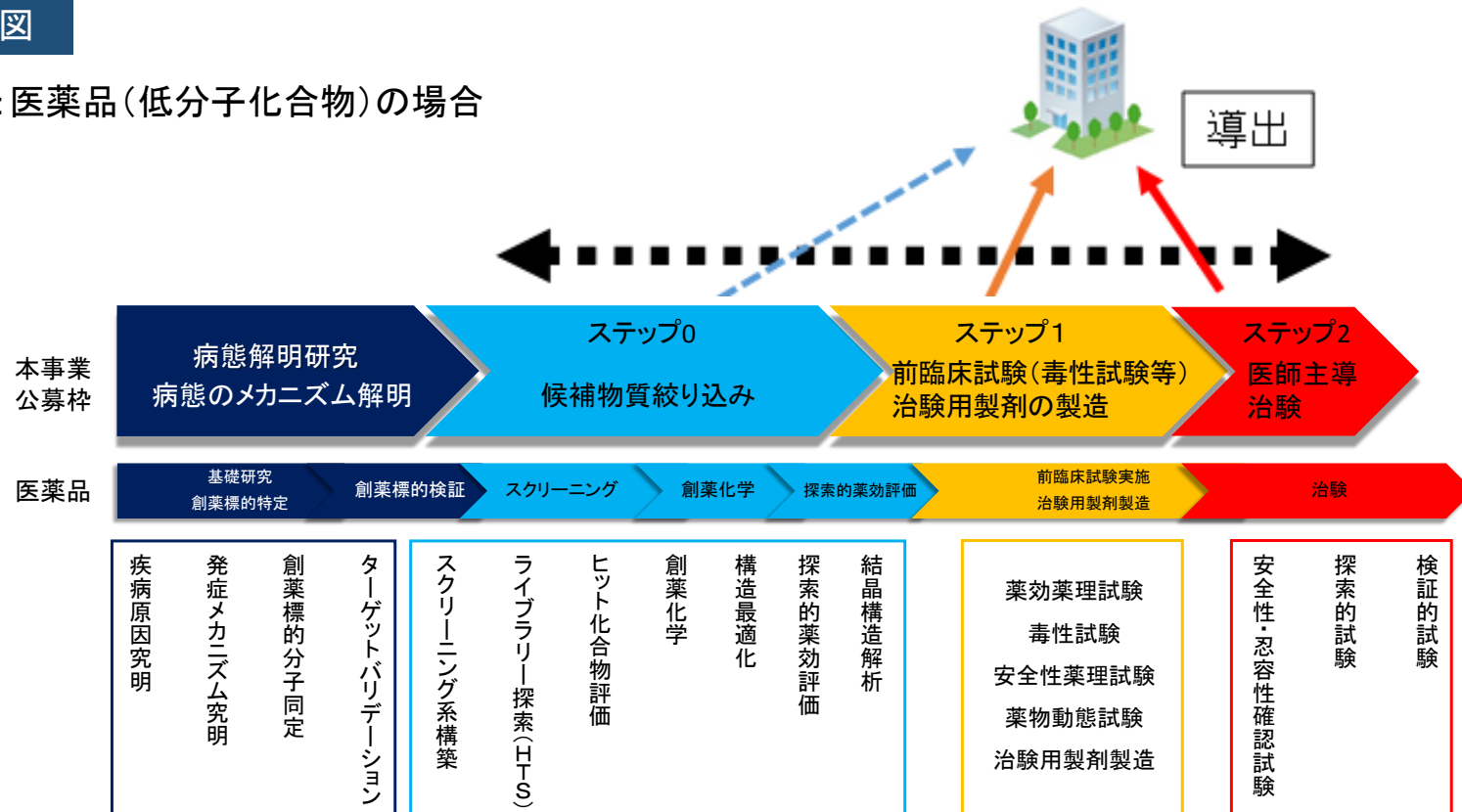
2. 希少難治性疾患に対する画期的な医薬品医療機器等の実用化に関する研究

目標

治療法の開発が困難な希少難治性疾患領域においては、近年、技術開発が進んできた画期的な医薬品、医療機器、再生医療等製品（以下、医薬品等）による治療が期待されている。本課題では希少難治性疾患に対する新しいシーズ（開発候補物）の国内での薬事承認に加え、既存の医薬品等の適応拡大を最終目標としたシーズ創出、非臨床試験、医師主導治験（原則として第II相試験まで）を実施し、患者のQOLや予後の向上に資する医薬品等の開発を目指す。

概要図

例示：医薬品（低分子化合物）の場合



研究開発費の規模: ステップ0 [年間1千万円～3千万円程度]、ステップ1 [3千万円～8千万円程度]、ステップ2 [5千万円～1億5千万円程度] * いずれも1課題1年あたり

研究開発予定期間: 最長 3年間

採択予定数 : ステップ0 [0～40課題程度]、ステップ1 [0～4課題程度]、ステップ2 [0～4課題程度]

2. 希少難治性疾患に対する画期的な医薬品医療機器等の実用化に関する研究

求められる成果

各研究開発課題の進捗状況に応じて、以下の成果を求める。

* 医療機器・再生医療等製品で該当するものがない場合はそれぞれに準ずる資料

(a) 薬事承認を目指すシーズ探索研究(ステップ0)

開発候補物に係る新規特許出願に関する資料、非臨床試験総括報告書、新しいシーズ探索の成果を示す資料(原著論文と、原著論文のリファレンス数等)、企業等への導出を示す資料(該当する場合)。

(b) 治験準備(ステップ1)

非臨床試験総括報告書(安全性試験についてはGLP)、治験薬GMP製造した製剤の確保・提供を証明・保証する書類、及び製造工程記録一式、治験薬概要書、企業等への導出を示す資料(該当する場合)。

(c) 医師主導治験(ステップ2)

医師主導治験総括報告書、GMP製造した製剤の確保・提供を証明・保証する書類、及び製造工程記録一式、治験薬概要書最新版、企業等への導出を示す資料。

企業等への導出がなされた場合は、薬事承認がなされたかどうか追跡評価等で確認する場合があるため、委託研究開発期間内であるなしに関わらず、AMEDが求めた際は当該情報をAMEDに提出すること。

2.希少難治性疾患に対する画期的な医薬品医療機器等の実用化に関する研究

提出資料[1／3]

提出資料の分類

必須 : 提出がなければ不受理となる提出物
原則必須: 存在する場合は提出が必須な提出物
任意 : 提出は必須ではないものの、提出された場合は審査に利用される提出物

資料 番号	資料の位置づけ			提出物
	S0	S1	S2	
1	必須			研究開発提案書
2	必須			研究開発提案内容チェックシート及び要約(英語及び日本語)
3	原則必須			PMDA薬事戦略相談の <u>事前面談を実施済み</u> の場合はサマリー(様式自由;アカデミア側作成の要旨で可)、 <u>対面助言を実施済み</u> の場合は対面助言記録及び別紙(相談内容)
4	原則必須			<u>プロトコール</u> (目的、対象、選択基準、除外基準、症例数、観察内容、介入内容、統計的手法、研究体制等の情報を含む)(<u>様式自由</u> ^{*1)}) (プロトコールの提出が困難である場合は、プロトコール案もしくはプロトコール概要等、 <u>実施予定の臨床研究のモデルがわかる資料</u>)

* 1) プロトコール作成時の参考資料をp52に例示

2.希少難治性疾患に対する画期的な医薬品医療機器等の実用化に関する研究

提出資料[2／3]

資料 番号	資料の位置づけ			提出物
	S0	S1	S2	
5	任意	原則 必須		<u>開発候補物に係る特許</u> * 2) (物質特許、用途特許、製法・製剤特許等) の出願・取得状況を示す資料(出願準備中の場合は出願予定の技術等の要旨、既出願未公開の場合は明細書要旨、既公開の場合は出願公開公報・特許公報)
6	任意		原則 必須	開発候補物概要書又はGLP/non-GLP非臨床試験総括報告書 * 3)
7	任意	原則 必須	任意	非臨床試験(GLP/non-GLP)計画書(安全性薬理試験、毒性試験、薬物動態試験等)
8	任意			<u>提案する研究開発課題に関連する</u> 学術雑誌等に発表した論文・著書、寄与した臨床指針・ガイドラインのうち、 <u>主なもの・最新のものの</u> 本文

* 2) 特に用途特許と製剤特許について独占期間と予定する標的疾患に関するもの

* 3) 市販品の場合、インタビューフォームでも代替可

2.希少難治性疾患に対する画期的な医薬品医療機器等の実用化に関する研究

提出資料[3／3]

資料 番号	資料の位置づけ			提出物
	S0	S1	S2	
9	任意			採択条件にある体制整備において <u>整備された外部の機関等を利用する場合、契約の候補となる機関等に関する資料</u>
10	任意			「希少疾病用医薬品」「希少疾病用医療機器」「希少疾病用再生医療等製品」として <u>指定を受ける場合</u> は、当該申請のための申請書類又は申請が終わっていることを示す書類若しくは指定を受けていることを示す書類
11	—	任意		<u>治験薬または治験機器の確保状況</u> （例えば、被験者〇名について△年間投与ないし使用が可能か、など）を示す書類

2.希少難治性疾患に対する画期的な医薬品医療機器等の実用化に関する研究

主な注意点

- 研究の対象となる疾患名及び国内罹患患者数を明記（不明の場合は不明と記載）し、研究の目的、特色／独創性、成果達成の可能性、期待される成果等を含む研究のハイライトを記載ください
- 研究全体の目標を達成するための中長期的なロードマップを作成し、研究（開発）項目ごとのマイルストン及び具体的な達成時期を明記ください（Step2についてはリクルート関連情報も含めてください）
- 研究開発代表者、研究開発分担者、協力企業等との相互連携関係、加えて、連携する場合は厚生労働省政策研究班や関連学会についても明示ください。
- 企業の協力が得られる場合、その内容と将来的な薬事申請者としての可能性を記載ください
- 研究協力体制に生物統計家や知財専門家を含めてください
- レジストリを構築する場合、AMEDが指定するデータベース等と連携ください

2.希少難治性疾患に対する画期的な医薬品医療機器等の実用化に関する研究

FAQ

Q1:

公募対象となる希少難治性疾患は具体的にどのような疾患が該当するのか

A1:

「希少性」、「原因不明」、「効果的な治療方法未確立」、「生活面への長期にわたる支障」の4要件を満たす疾患のうち、「がん」「生活習慣病」「精神疾患」等、他の事業において組織的な研究の対象に含まれていないものになります。

FAQ

Q2:

診断薬(体外診断用医薬品)については公募対象の医薬品等に含まれるのか

A2:

含まれます。

2.希少難治性疾患に対する画期的な医薬品医療機器等の実用化に関する研究

FAQ

Q3:
企業の参画とはどのような関与を想定しているのか

A3:
応募するステップやシーズの知的財産権が研究者なのか企業なのか等により、研究に対するオブザーバーから導出候補まで関与のレベルは異なると考えています。
本公募は承認申請を最終目的としているため、なんらかの形での企業の関与を求めています。

FAQ

Q4:
薬事承認までのロードマップについて、ステップ1や2も10年後が必要なのか

A4:
薬事承認が最終目標ですので、10年以内に承認が取得できる計画であれば、10年後は承認取得済みと記載いただければ結構です。

2. 希少難治性疾患に対する画期的な医薬品医療機器等の実用化に関する研究

FAQ

Q5:

応募段階で開発対象疾患を特定しておく必要があるのか

A5:

研究の方向性を明確にする意味で特定して応募いただきます。なお、研究にて得られた知見により、対象疾患が変更になる可能性を否定するものではありませんが、その場合も研究対象は希少難治性疾患となります。

FAQ

Q6:

複数の開発対象疾患を設定していいのか

A6:

ステップ0など開発フェーズの早い段階で疾患の絞り込みが困難な場合は希少難治性疾患の範囲で複数設定いただいて結構ですが、研究費やエフォート、研究期間を勘案し、実現可能な範囲に限定する必要があります。

2.希少難治性疾患に対する画期的な医薬品医療機器等の実用化に関する研究

FAQ

Q7:「国内で知的財産権が保有されている候補物を最大限優先することを原則とする」とは、どのような意味か

A7:内国人での知的財産権が保有されている候補物を意図しており、類似研究課題において、知的財産が内国人と外国人の異なる候補物がある場合、内国人が知的財産権を保有する候補化合物を用いた研究を採択時に考慮するということです。

FAQ

Q8:医師主導治験が実施できる体制におけるITシステム等とは、具体的にどのような内容か

A8:EDCを活用する場合はER/ES指針準拠が必須であり、CDISC標準に対応したものが強く推奨される。IRB審査等、治験手続きにITシステムを利用する場合、厚生労働省医薬食品局審査管理課事務連絡「治験関連文書における電磁的記録の活用に関する基本的考え方」の一部改正について」(平成26年7月1日)を参照ください。

2.希少難治性疾患に対する画期的な医薬品医療機器等の実用化に関する研究

FAQ

Q9: 評価等に参画企業等の担当者が参加することと規定しているが、全ステップで必ず評価会議等への企業参加が必要になるのか

A9: 既存医薬品等の適応拡大については参加を原則としていますが、その他の場合については、企業の研究への関与度合いに応じた積極的な参加が求められます。

FAQ

Q10: 「対象とする製剤または製品（またはそのプロトタイプ）の入手方法（企業等から供与、購入、自施設で製造、委託製造）・・・が明記されていること。」とあるが、シーズ探索研究であるステップ0はどのように記載すればいいのか

A10: 既存薬や企業が何らかの理由で開発を中断している化合物を用いたDrug repositioning のような形態であれば、対象製剤（化合物）等と入手方法を記載いただき、アカデミアシーズであれば、その旨と自施設で製造等、実態に応じて記載ください。

3.診療に直結するエビデンス創出研究

※公募要領p.55～58参照

3.診療に直結するエビデンス創出研究

背景・目標

診療ガイドライン等※は、最善の医療を提供するために重要なものであり、その作成・改定には、疾患の自然歴に関する新たな知見の創出、診断バイオマーカーや治療効果指標の妥当性の検証、治療法之最適化に関する検証等、相応のエビデンスを要する。本公募研究開発課題では、希少難治性疾患（難病）領域における診療ガイドライン等を作成・改定するためのエビデンスの創出を目指す。

※ 「診療ガイドライン等」には、診療の手引き、診療マニュアルを含む。

規模等

研究開発費の規模 : 1課題当たり年間10,000千円程度（間接経費を含む）
研究開発実施予定期間 : 最長3年※ 2017年度～2019年度
新規採択課題予定数 : 0～20課題程度

※ 研究開発実施期間は、状況に応じて変更される可能性があります。

求められる成果

診療ガイドライン等の作成・改定に資するエビデンスを示す資料（原著論文）等。

3.診療に直結するエビデンス創出研究

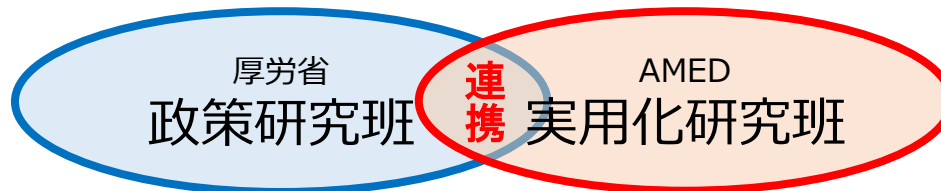
留意事項 1

研究開発提案における対象疾患をカバーする（対象とする）厚生労働省難治性疾患政策研究事業※の研究課題（難治性疾患政策研究班）が存在する場合は、連携を必須とする。

※ 厚生労働省難治性疾患政策研究事業
診断基準、重症度分類、診療ガイドライン等の作成・改訂・とりまとめ、関連学会や患者会と連携した普及・啓発活動、診療体制の構築等を主な目的とする事業。

連携すべき政策研究班が存在する場合は

連携必須

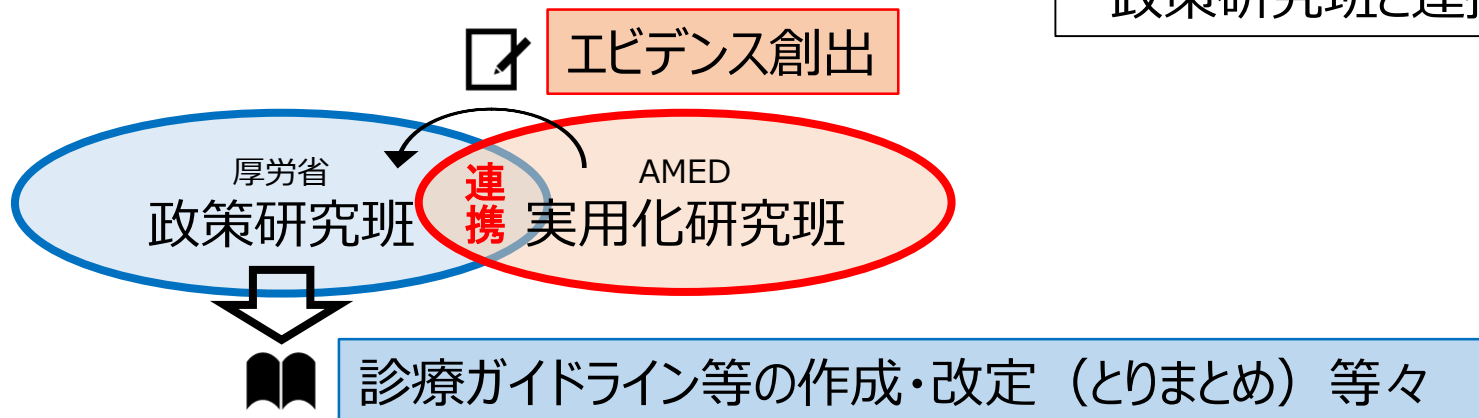


3.診療に直結するエビデンス創出研究

留意事項 2

難治性疾患政策研究班と**連携する場合**は、本研究開発課題で行う内容は診療ガイドライン等の作成・改定に資するエビデンスの創出までとし、診療ガイドライン等の作成・改定自体（とりまとめ）は難治性疾患政策研究班で行うこと。また、適宜、難治性疾患政策研究班や関連学会を通じて医療関係者、患者等への周知・普及に努めること。

概念図



3.診療に直結するエビデンス創出研究

留意事項 3

連携すべき難治性疾患政策研究班が**存在しない場合**は、診療ガイドライン等の作成・改定自体（とりまとめ）及び、適宜、関連学会の承認取得、関連学会を通じた医療関係者、患者等への周知・普及等を含む研究開発計画とすること。

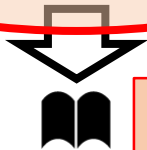
概念図



エビデンス創出

連携すべき政策研究班が
存在しない場合

AMED
実用化研究班



診療ガイドライン等の作成・改定（とりまとめ）等々

3.診療に直結するエビデンス創出研究

留意事項 4

難治性疾患政策研究班との連携の有無にかかわらず、創出したエビデンスに基づき、診療ガイドライン等の作成・改定がなされた場合は、委託研究開発期間内であるなしに関わらず、原則、診療ガイドライン等をAMED担当課室に提出すること。

3.診療に直結するエビデンス創出研究

提出資料

必須	: 提出がなければ <u>不受理となる</u> 提出物
原則必須	: <u>存在する場合は</u> 提出が必須な提出物
任意	: 提出は必須ではないものの、 <u>提出された場合は審査に利用</u> される提出物

資料 番号	資料の 位置づけ	提出物
1	必須	研究開発提案書
2	必須	研究開発提案内容チェックシート（診療に直結するエビデンス創出研究用）及び要約（英語及び日本語）
3	必須	研究開発提案書別紙（診療に直結するエビデンス創出研究用）
4	原則必須	プロトコル（目的、対象、選択基準、除外基準、症例数、観察内容、介入内容、統計的手法、研究体制等の情報を含む）（様式自由） （プロトコルの提出が困難である場合は、プロトコル案もしくはプロトコル概要等、実施予定の臨床研究のモデルがわかる資料）
5	任意	提案する研究開発課題に関連する学術雑誌等に発表した論文・著書、寄与した臨床指針・ガイドラインのうち、主なもの・最新のものの本文

他の留意事項 1

研究開発提案書別紙（診療に直結するエビデンス創出研究用）に「**解決する臨床的課題**」、「**解決方法**」、「**重要性（臨床的意義）**」を明記すること。

**何が達成（解決）されるのか
明確に。**

3.診療に直結するエビデンス創出研究

他の留意事項 2

本公募研究開発課題の「目標」にそぐわない研究項目（診療ガイドライン等の作成・改定に資するエビデンス創出に直結しない基礎研究の実施等）を含まない研究開発提案であること。また、開発研究としての臨床試験の実施、対象疾患に対して国内未承認の医薬品・医療機器等を用いる介入研究の実施、承認医薬品・医療機器等を用いる臨床試験であって薬機法に基づき製造販売業者が行う製造販売後臨床試験等の実施を含まない研究開発提案であること。なお、薬機法に基づき製造販売業者が行う試験等とは別に、エビデンス創出のために有効性、安全性等に係る試験を実施することは可とする（医療経済的観点から検討を行うための研究も含む）。



以下を含まないこと。

- 診療ガイドライン等の作成・改定に資するエビデンス創出に直結しない基礎研究の実施等
- 開発研究としての臨床試験の実施
- 対象疾患に対して国内未承認の医薬品・医療機器等を用いる介入研究の実施
- 承認医薬品・医療機器等を用いる臨床試験であって薬機法に基づき製造販売業者が行う製造販売後臨床試験等の実施

3.診療に直結するエビデンス創出研究

Q&A

Q.連携すべき政策研究班が存在するかどうか、わからない。どうしたら良いか。

A.まず「難病情報センター」ウェブサイト※にて対象疾患を検索し、当該疾患に関するウェブページが存在する場合には、ページ内の「研究班名簿」等を確認すること。

※ <http://www.nanbyou.or.jp/>

難病情報センター
Japan Intractable Diseases Information Center

文字サイズの変更
標準 大 特大

サイトマップ English

サイト内検索

お知らせ 国の難病対策 病気の解説 患者会情報 指定難病一覧

当ホームページでは、患者さん、ご家族の皆様および難病治療に携わる医療関係者の皆様に参考となるような情報を厚生労働省健康局難病対策課と協力して提供しています。

キーワードから探す

サイト内検索

お問い合わせ
詳しくはこちら

一般利用者向け
50音順 索引

一般利用者向け

3.診療に直結するエビデンス創出研究

Q&A（つづき）

A（つづき）.また、「難病情報センター」に掲載されている「平成28年度 難治性疾患政策研究事業 研究課題一覧表」※を確認すること。

※ <http://www.nanbyou.or.jp/entry/5312>

The screenshot shows the homepage of the Japan Intractable Diseases Information Center. The header includes the site name in Japanese and English, a site map icon, a language selector (Japanese/English), and a font size adjustment tool. A navigation bar contains links for 'お知らせ' (Notice), '国の難病対策' (National Intractable Disease Countermeasures), '病気の解説' (Disease Explanations), '患者会情報' (Patient Association Information), and '指定難病一覧' (List of Designated Intractable Diseases). The main content area features a breadcrumb trail: 'HOME >> 平成28年度 難治性疾患政策研究事業 研究課題一覧表'. Below this is the title '平成28年度 難治性疾患政策研究事業 研究課題一覧表' and a note that the topics are categorized by field. Two categories are listed: '疾患別基盤研究分野' (Disease-based Basic Research Field) and '領域別基盤研究分野' (Field-based Basic Research Field). On the right side, there are two yellow call-to-action boxes: 'お問い合わせ' (Contact Us) with a link to '詳しくはこちら' (Details here), and '一般利用者向け' (For General Users) with a link to '50音順 索引' (Index by 50-sound order). At the bottom right, another '一般利用者向け' box links to '疾患群別 索引' (Index by Disease Group).

これらを確認してもなお対象疾患をカバーする（対象とする）難治性疾患政策研究班の有無がわからない場合は、「AMED公募の難治性疾患政策研究班との連携に関する問い合わせである旨」と「対象疾患名」を厚生労働省 健康局 難病対策課（連絡先は公募要領を参照）へ伝え、指示を仰ぐこと。

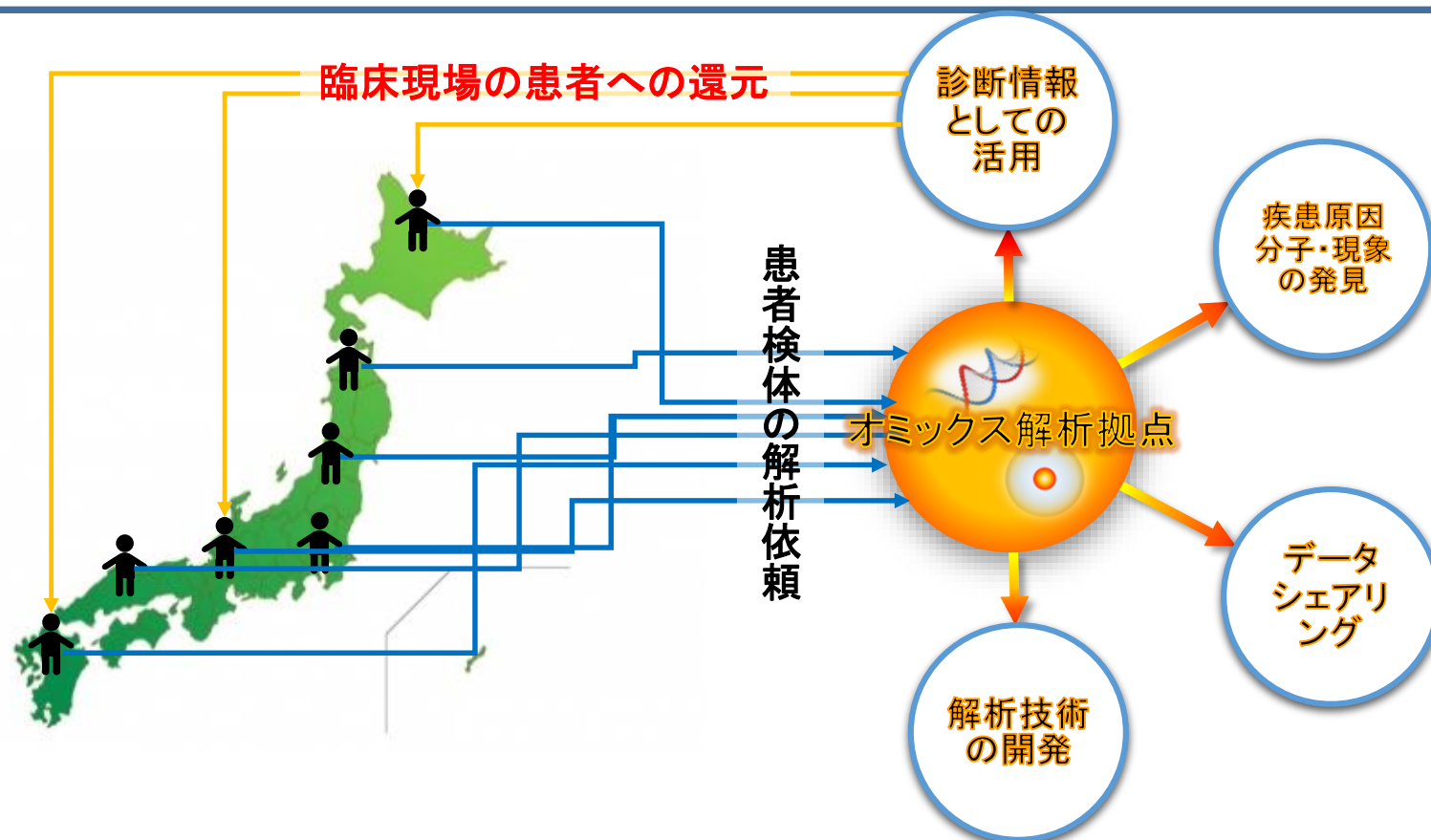
4.オミックス解析を通じて希少難治性疾患の医療に貢献する 基盤研究(オミックス解析拠点)

※公募要領p.59～62参照

4.オミックス解析を通じて希少難治性疾患の医療に貢献する基盤研究(オミックス解析拠点)

目標 希少難治性疾患の研究において、遺伝子、転写、発現、翻訳後修飾といった、疾患の原因となり得る一連の生命現象を解析することは、医薬品等の治療法開発、診断法の開発を推進するための基盤情報、あるいは臨床現場での診断のための基盤情報として重要な位置付けを占めている。本公募研究開発課題では、希少難治性疾患の患者検体の解析を請け負い、ゲノム解析、トランスクリプトーム解析、プロテオーム解析、メタボローム解析、エピゲノム解析、グライコーム解析等の「オミックス解析」と呼ばれる解析技術を駆使し、希少難治性疾患の発症に関与する生命現象を新規に発見すること、その結果について診断等を通じて臨床現場等に還元すること及びオミックス解析データを治療法、診断法開発のための基盤情報として他の研究へ供出することを目標とする。

概要図



研究開発費の規模: 1課題あたり年間30,000千円～150,000千円程度(間接経費を含む)

研究開発予定期間: 最長3年間

採択予定数: 0～8課題

4.オミックス解析を通じて希少難治性疾患の医療に貢献する基盤研究(オミックス解析拠点)

求められる成果

(a) 自施設あるいは他の医療機関から患者検体を請け負い、オミックス解析により以下の事項を達成すること。

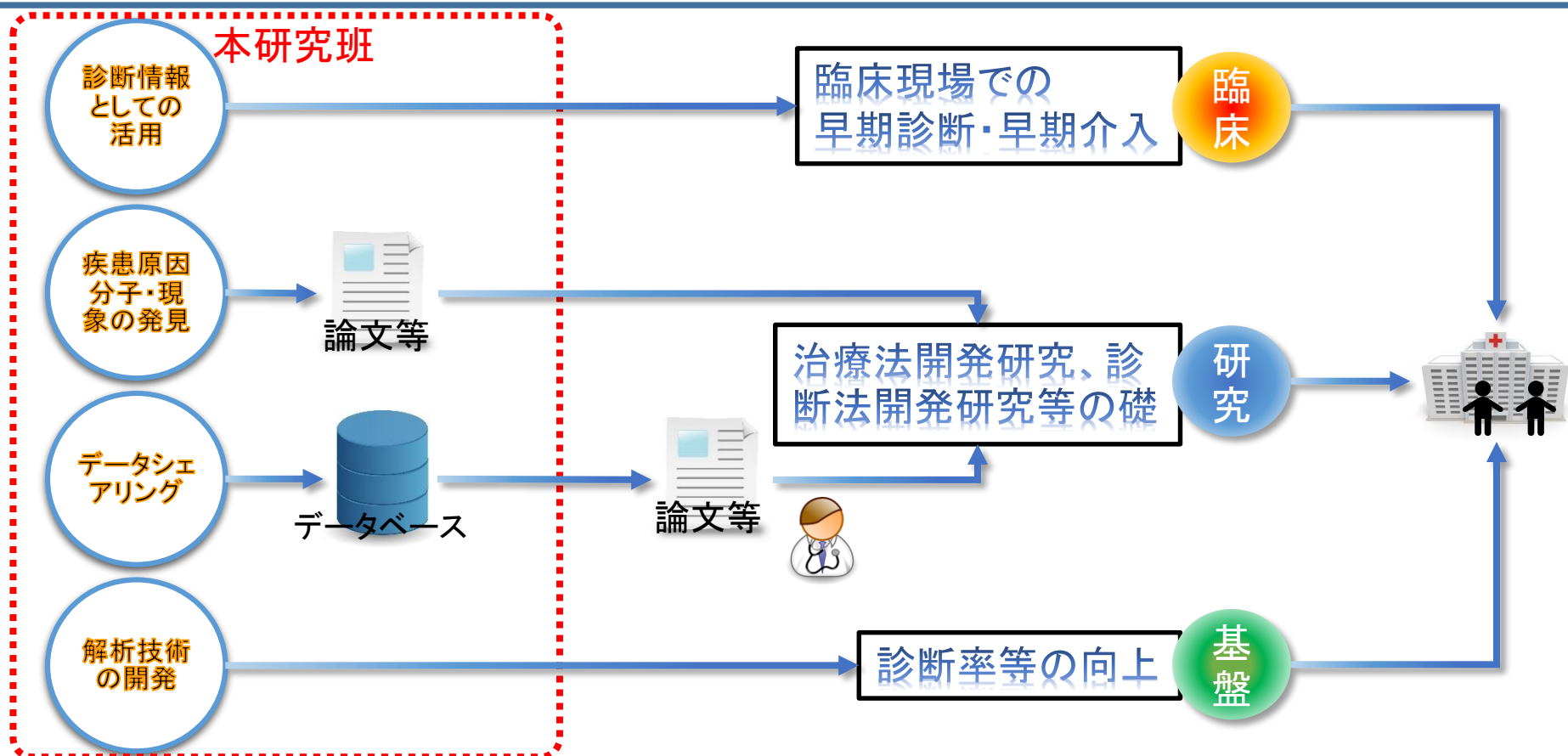
- 1) 希少難治性疾患の発症に關与する生体分子あるいは生命現象の発見や同定
- 2) 臨床現場への診断等の情報の還元

(b) 希少難治性疾患の診断率向上のためにオミックス解析の技術開発を行うこと。

(c) オミックス解析研究を行う他の研究者と積極的にデータの共有を行う、AMEDが指定する公開データベースに解析結果を保管、公開する等してデータシェアリングに貢献すること。

(d) 「疾病克服に向けたゲノム医療実現化プロジェクト ゲノム医療実現のためのデータシェアリングポリシー」に準じてAMEDが指定するデータベースに臨床情報や解析・解釈結果等を含むオミックスデータを提供すること。

(e) ゲノム解析を行う研究では、ゲノム解析を行う既存のAMED内の研究である「未診断疾患イニシアチブ(IRUD)」、及び「臨床ゲノム情報統合データベース整備事業」における研究との適切な連携体制を構築していくこと。



4.オミックス解析を通じて希少難治性疾患の医療に貢献する基盤研究(オミックス解析拠点)

提出資料

提出資料の分類

必須 : 提出がなければ不受理となる提出物

原則必須: 存在する場合は提出が必須な提出物

任意 : 提出は必須ではないものの、提出された場合は審査に利用される提出物

資料番号	資料の位置づけ	提出物
1	必須	研究開発提案書
2	必須	研究開発提案内容チェックシート（オミックス解析拠点用）および要約
3	必須	研究開発提案書別紙（オミックス解析拠点用）
4	原則必須	プロトコル（目的、対象、選択基準、除外基準、症例数、観察内容、介入内容、統計的手法、研究体制等の情報を含む）（様式自由）（プロトコルの提出が困難である場合は、プロトコル案もしくはプロトコル概要等、実施予定の臨床研究のモデルがわかる資料）
5	任意	提案する研究開発課題に関連する学術雑誌等に発表した論文・著書、寄与した臨床指針・ガイドラインのうち、主なもの・最新のものの本文

オミックス解析の実績、予定する解析件数、データシェアリングの計画について記載するフォーマット

4.オミックス解析を通じて希少難治性疾患の医療に貢献する基盤研究(オミックス解析拠点)

主な注意点

- オミックス解析拠点で求めるのは本研究の中で特定の疾患の治療法開発等に結びつけるものではなく、オミックス解析を請け負う拠点型の研究です。
- 診断等の臨床現場への還元と研究の双方に貢献する必要があります。
研究開発提案書に双方に貢献する計画であることが明確になるように記載してください。
- オミックス解析プランに記載された保管予定症例数への達成状況が、採択後に適宜確認されます。

4.オミックス解析を通じて希少難治性疾患の医療に貢献する基盤研究(オミックス解析拠点)

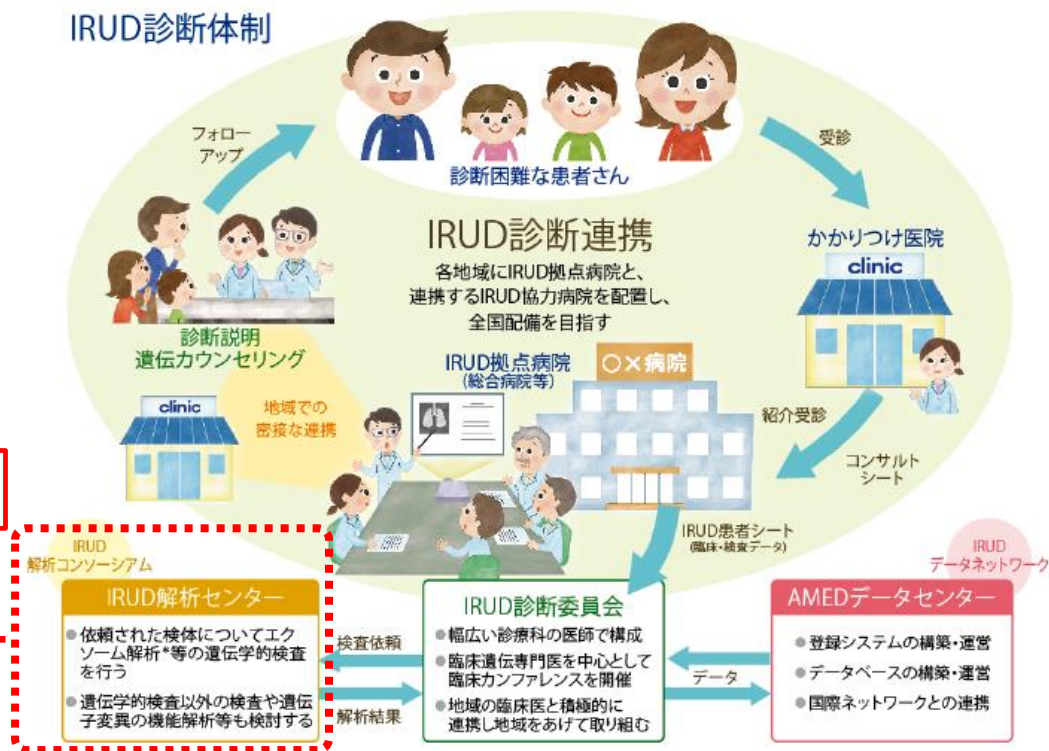
FAQ

Q1:「IRUD」とは何か？

IRUDの主な対象と重複しないというのはどのような意味か？

A1: 詳しくはIRUDのポータルWebサイト(<http://www.irud.jp>)において企画書等をご確認ください。
IRUDは本事業下で、臨床現場で診断が付かない患者について全国規模の診断体制を構築していく基盤構築研究であり、その中で必要に応じて患者の遺伝学的解析(ゲノム解析)を行います。
解析手法が重複しますが、IRUDでは下図の様な経路で紹介された臨床症状等からは診断が困難な患者を主な解析対象とするのに対し、オミックス解析拠点では臨床症状からある程度疑われる疾患がある患者の確定診断のための解析等を主な対象とすることを想定しています。

IRUD診断体制



遺伝学的解析

4.オミックス解析を通じて希少難治性疾患の医療に貢献する基盤研究(オミックス解析拠点)

FAQ

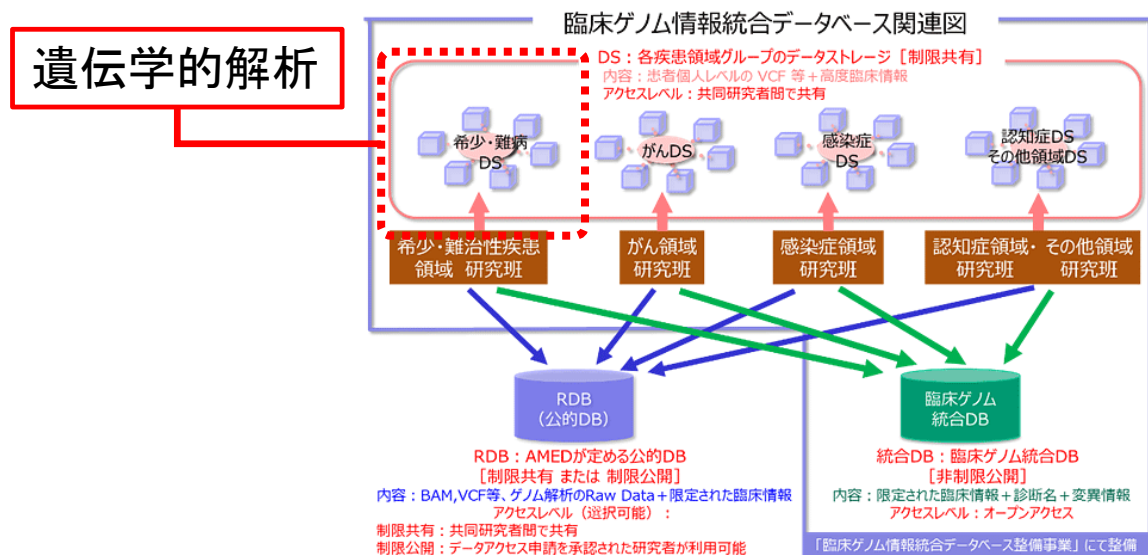
Q2: 連携を求められている臨床ゲノム統合データベース整備事業とは何か？

「疾病克服に向けたゲノム医療実現化プロジェクト ゲノム医療実現のためのデータシェアリングポリシー」に準じてAMEDが指定するデータベースに臨床情報や解析・解釈結果等を含むオミックスデータを提供するというのは具体的にどのような意味か？

A2: AMEDバイオバンク事業部所管事業であり、当該事業では希少難治性疾患領域を含めた複数の領域を対象にして、遺伝学的解析、データベースの構築とデータシェアリング、臨床現場への診断情報の還元を主眼にした研究を展開しています。

事業の詳細は<http://www.amed.go.jp/program/list/04/01/047.html>をご参照ください。

「疾病克服に向けたゲノム医療実現化プロジェクトゲノム医療実現のためのデータシェアリングポリシー」の「データシェアリングの実施方法」におけるデータの登録時期等を参照する形で、データシェアリングの実施状況を採択後も確認します。



4.オミックス解析を通じて希少難治性疾患の医療に貢献する基盤研究(オミックス解析拠点)

FAQ

Q3: 成果でデータ保管が求められている「AMEDが指定するデータベース」とは何か？
研究開発提案書別紙の「オミックス解析プラン」には「AMEDが指定するデータベース」に関しデータシェアリングの予定を何らかに記載する必要があるのか？

A3: 既存のものではなく、今後本事業で構築する予定です。
臨床ゲノム情報統合データベースとは異なり、希少難治性疾患領域に特化し、単純なデータベースに留まらず付加的なプラットフォーム機能を有する仕組み作りを検討しています(2016年3次公募で募集中のものです。 <http://www.amed.go.jp/koubo/050120161115.html>)。

現在、仕様は未定でございますので、提案時点で当該データベースについてオミックス解析プランにご記入いただく必要はありません。

採択された研究には採択後に弊課主導の下、調整させていただくことを想定しています。

4.オミックス解析を通じて希少難治性疾患の医療に貢献する基盤研究(オミックス解析拠点)

FAQ

Q4: 今年度まで本事業で行っている「疾患群毎の集中的な遺伝子解析及び原因究明に関する研究(遺伝子拠点研究)」との主な違いは何か？

A4: 大きく分けて3点ございます。

①解析手法の拡張

ゲノム解析のみを公募のテーマとしていたが、近年の解析技術の普及に鑑みオミックス解析に手法を拡張しました。

②データシェアリングの推進

既存の公募では成果として明示していませんでしたが、希少疾患領域の本分野では特にデータシェアリングが重要です。データを一つの研究班で囲い込むのではなく、データシェアリングポリシーに準じる等して解析後早期のデータシェアリングを推進し、一刻も早い医療の実用化を目指します。

③解析技術の向上

既存の公募では成果として明示していませんでしたが、一つの成果と見なします。知財権の取得等により、希少難治性疾患の診断率向上等に資することを推奨します。