



公 募 要 領

難治性疾患実用化研究事業
[2018年度 1次公募]

2017年11月

目次

I. はじめに	6
1. 事業の概要	6
(1) 事業の現状	6
(2) 事業の方向性	6
(3) 事業の目標と成果	6
2. 事業の構成	6
(1) 事業実施体制	6
(2) 代表機関と分担機関の役割	6
II. データシェアリングについて	8
III. 応募に関する諸条件等	9
1. 応募資格者	9
2. 応募に当たっての留意事項	10
(1) 委託研究開発契約について	10
(2) 府省共通研究開発管理システム（e-Rad）について	10
(3) 臨床試験登録制度への登録について	10
(4) 安全保障貿易管理について（海外への技術漏洩への対処）	10
(5) 知的財産マネジメントについて	11
IV. 公募・選考の実施方法	12
1. 公募研究開発課題の概要	12
2. 提案書類の作成及び提出	13
(1) 提案書類様式の入手方法	13
(2) 提案書類受付期間	13
(3) 提案書類の提出	14
(4) スケジュール等	15
3. 提案書類の審査の実施方法	16
(1) 審査方法	16
(2) 審査項目と観点	17
4. 若手研究者の登用の推進	19
V. 提案書類の作成と注意	20
1. 提案書類等に含まれる情報の取扱い	20
(1) 情報の利用目的	20
(2) 必要な情報公開・情報提供等	20
2. 提案書類の様式及び作成上の注意	21
(1) 提案書類の様式	21
(2) 提案書類の作成	21
(3) 提案書類作成上の注意	21
(4) 研究開発提案書以外に必要な書類について	22
VI. 委託研究開発契約の締結等	23
1. 委託研究開発契約の締結	23

(1)	契約条件等	23
(2)	契約締結の準備について	23
(3)	契約に関する事務処理	23
(4)	委託研究開発費の額の確定等について	24
2.	委託研究開発費の範囲及び支払い等	24
(1)	委託研究開発費の範囲	24
(2)	委託研究開発費の計上	24
(3)	委託研究開発費の支払い	25
(4)	間接経費に係る領収書等の証拠書類の整備について	25
3.	委託研究開発費の繰越	25
4.	本事業を実施する研究機関の責務等	25
(1)	法令の遵守	25
(2)	研究倫理教育プログラムの履修・修了	26
(3)	利益相反の管理について	26
(4)	法令・倫理指針等の遵守について	26
(5)	委託研究開発費の執行についての管理責任	27
(6)	体制整備に関する対応義務	28
5.	本事業の研究活動に参画する研究者の責務等について	28
(1)	委託研究開発費の公正かつ適正な執行について	28
(2)	応募における手続等	28
(3)	研究倫理教育プログラムの履修・修了	28
6.	研究倫理プログラムの履修等	28
(1)	履修プログラム・教材について	28
(2)	履修対象者について	28
(3)	履修時期について	28
(4)	研究機関等の役割について	29
(5)	履修状況の報告について	29
(6)	お問合せ先	29
7.	利益相反の管理	29
(1)	対象者について	29
(2)	利益相反審査の申出について	29
(3)	倫理審査及び利益相反管理の状況報告書の提出について	29
(4)	お問合せ先	30
8.	不正行為・不正使用・不正受給への対応	30
(1)	本事業に係る不正行為・不正使用・不正受給の報告及び調査への協力等	30
(2)	不正行為・不正使用・不正受給が認められた場合について	31
(3)	AMED RIO ネットワークへの加入	33
9.	採択後契約締結までの留意点	33
(1)	採択の取消し等について	33
(2)	調査対象者・不正行為認定を受けた研究者について	34
(3)	研究開発計画書及び報告書の提出について	34
(4)	研究資金の不合理な重複及び過度の集中の排除について	34
VII.	採択課題の管理と評価	36
1.	課題管理	36
2.	評価	36

3.	成果報告会等での発表	37
VIII.	研究開発成果の取扱い	38
1.	研究開発成果報告書の提出と公表	38
2.	研究開発成果の帰属	38
3.	研究成果の実用化に向けた措置	38
4.	医療研究者等向け知財教材	39
5.	研究開発成果のオープンアクセスの確保	39
IX.	取得物品の取扱い	40
1.	所有権	40
2.	研究開発期間終了後の取扱い	40
3.	放射性廃棄物等の処分	40
X.	その他	41
1.	国民との双方向コミュニケーション活動	41
2.	健康危険情報	41
3.	政府研究開発データベース入力のための情報	41
4.	研究者情報の RESEARCHMAP [※] への登録	42
5.	リサーチツール特許の使用の円滑化	42
6.	知的財産推進計画に係る対応	42
7.	AMED 知的財産コンサルタント及び AMED 知財リエゾンによる知的コンサルテ ーション支援	43
8.	シーズ・ニーズのマッチング支援システム	43
9.	創薬支援ネットワーク及び創薬支援戦略部による支援	44
10.	AMED における課題評価の充実	44
11.	各種データベースへの協力について	44
	(1) バイオサイエンスデータベースセンターへの協力	44
	(2) 開発したリソースのナショナルバイオリソースプロジェクト (NBRP) ^{※1} への寄 託	45
	(3) その他	45
12.	臨床研究法施行に係る対応	45
XI.	照会先	46
XII.	公募研究開発課題	48
1.	希少難治性疾患の克服に結びつく病態解明研究	48
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	54
3.	診療に直結するエビデンス創出研究	62
4.	希少難治性疾患の研究及び医療の発展に資する情報基盤構築研究 (難病プラッ トフォーム)	66
5.	希少未診断疾患に対する診断プログラムの開発に関する研究	70

I. はじめに

本公募要領に含まれる公募研究開発課題は、国立研究開発法人日本医療研究開発機構（以下「AMED」という。）が実施する難治性疾患実用化研究事業の公募研究開発課題です。

1. 事業の概要

（1） 事業の現状

2015年1月1日から「難病の患者に対する医療等に関する法律」（平成26年法律第69号）が施行され110疾病が指定難病として難病医療費助成制度の対象となり、2017年には330疾病まで拡大されるなど、近年新たに難病対策が講じられています。これらの未だ治療法が確立していない難病の克服のためには、治療法開発のための基盤技術開発研究、研究基盤確立研究、医薬品開発研究等の推進が必要です。

（2） 事業の方向性

本事業は、「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要件を満たす希少難治性疾患を対象として、病因・病態の解明、画期的な診断・治療・予防法の開発を推進することで、希少難治性疾患の克服を目指すものです。なお、研究開発費の効率的活用の観点から、「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。

（3） 事業の目標と成果

本研究事業が含まれる難病克服プロジェクトでは、2020年頃までに難病をターゲットに医薬品・医療機器等の薬事承認や適応拡大を11件以上達成すること、欧米等のデータベースと連携した国際共同臨床研究及び治験を開始すること、未診断又は希少疾患に対する新規原因遺伝子又は新規疾患の発見を5件以上達成することを目標としており、その達成に向けた成果が望まれます。

2. 事業の構成

（1） 事業実施体制

医療分野研究開発推進計画[※]に基づき、競争的資金の効率的な活用を図り、優れた成果を生み出していくための円滑な実施を図るため、プログラムスーパーバイザー（以下「PS」という。）及びプログラムオフィサー（以下「PO」という。）等を事業内に配置します。

PS・PO等は、本事業全体の進捗状況を把握し、事業の円滑な推進のため、必要な指導・助言等を行います。また、研究機関及び研究者は、PS・PO等に協力する義務を負います。PS・PO等による指導、助言等を踏まえ、研究開発課題に対し必要に応じて計画の見直し、変更、中止、実施体制の変更等を求めることがあります。

※ <http://www.kantei.go.jp/jp/singi/kenkouiryousuisin/ketteisiryoudai2/siryou2.pdf>

（2） 代表機関と分担機関の役割

本事業において、研究開発課題は代表機関及び必要に応じて分担機関が実施します。

- (a) 「代表機関」とは、研究開発代表者が所属し、AMED と直接委託研究開発契約を締結する研究機関※をいいます。
- (b) 「分担機関」とは、研究開発分担者が所属し、AMED と直接委託研究開発契約又は「代表機関」と再委託研究開発契約を締結する「代表機関」以外の研究機関※をいいます。

※ 本事業における機関との委託研究開発契約の詳細については VI. 章を参照してください。

II. データシェアリングについて

ゲノム情報の医療現場での実利用に向けた研究開発の推進には、ゲノム情報等の知見の蓄積だけでなく、解析データ等の研究成果の迅速かつ広範な供用が重要であることを踏まえ、生体試料等の提供者の保護を最大限尊重しつつ、解析データ等の二次利用を促進するため、本事業では、ゲノムデータ等の登録・公開・供用に関するルール「＜疾患克服に向けたゲノム医療実現化プロジェクト及び難病克服プロジェクト＞ゲノム医療実現のためのデータシェアリングポリシー」（以下、「データシェアリングポリシー」という。）を定め、平成30年度から運用を開始致します。

本事業に参画する研究開発代表者・研究開発分担者は、データシェアリングポリシーに則り、本事業において得られる遺伝子解析データ等のデータマネジメントプランを作成し、適切な期日までにAMED指定の公的データベース等に登録・公開（制限共有及び制限公開を含む）することが求められます。

なお、データ登録・公開の計画とその実施は研究開発課題の事前評価、中間評価、事後評価、追跡評価等において考慮することがあります

本事業への応募に当たっては「＜疾患克服に向けたゲノム医療実現化プロジェクト及び難病克服プロジェクト＞ゲノム医療実現のためのデータシェアリングポリシー」

(<http://www.amed.go.jp/program/list/01/05/001.html>) を参照し、データマネジメントプランを提出してください。

なお、本公募において本ポリシーの適用及びデータマネジメントプランの提出については、「診療に直結するエビデンス創出研究」（Ⅻ章3参照）及び「希少難治性疾患の研究および医療の発展に資する情報基盤構築研究（難病プラットフォーム）」（Ⅻ章4参照）を対象とします。なお、他の研究開発課題については、採択後に進捗管理の観点で、データマネジメントプランの提出をもとめることがあります。

III. 応募に関する諸条件等

1. 応募資格者

本事業の応募資格者は、以下（１）～（５）の要件を満たす国内の研究機関等に所属し、応募に係る研究開発課題について、研究開発実施計画の策定や成果の取りまとめなどの責任を担う能力を有する研究者（「研究開発代表者」とします）。

（１）以下の（a）から（h）までに掲げる国内の研究機関等

- （a）国の施設等機関^{※1}（研究開発代表者が教育職、研究職、医療職^{※2}、福祉職^{※2}、指定職^{※2}又は任期付研究員である場合に限る。）
- （b）地方公共団体の附属試験研究機関等
- （c）学校教育法（昭和 22 年法律第 26 号）に基づく大学及び同附属試験研究機関等（大学共同利用機関法人も含む）
- （d）民間企業の研究開発部門、研究所等
- （e）研究を主な事業目的としている特例民法法人並びに一般社団法人、一般財団法人、公益社団法人及び公益財団法人（以下「特例民法法人等」という。）
- （f）研究を主な事業目的とする独立行政法人通則法（平成 11 年法律第 103 号）第 2 条に規定する独立行政法人及び地方独立行政法人法（平成 15 年法律第 118 号）第 2 条に規定する地方独立行政法人
- （g）非営利共益法人技術研究組合^{※3}
- （h）その他 AMED 理事長が適当と認めるもの

※1 内閣府及び国家行政組織法第 3 条第 2 項に規定される行政機関に置かれる試験研究機関、検査検定機関、文教研修施設、医療更生施設、矯正収容施設及び作業施設をいいます。

※2 病院又は研究を行う機関に所属する者に限ります。

※3 産業活動において利用される技術に関して、組合員が自らのために共同研究を行う相互扶助組織

- （２）課題が採択された場合に、課題の遂行に際し、機関の施設及び設備が使用できること。
- （３）課題が採択された場合に、契約手続き等の事務を行うことができること。
- （４）課題が採択された場合に、本事業実施により発生する知的財産権（特許、著作権等を含む。）に対して、責任ある対処を行うことができる機関であること。
- （５）本事業終了後も、引き続き研究開発を推進し、他の研究機関及び研究者の支援を行うことができる機関であること。

また、委託研究開発契約の履行能力を確認するため、審査時に、代表機関及び分担機関の営む主な事業内容、資産及び負債等財務に関する資料等の提出を求めることがあります。

なお、特定の研究機関に所属していない、若しくは日本国外の研究機関に所属している研究者で、研究開発代表者として採択された場合、研究開発開始（契約締結等）予定日までに、日本国内の研究機関に所属して研究を実施する体制を取ることが可能な研究者も応募できます。ただし、研究開発開始（契約締結等）予定日までに、上記条件を備えていない場合、原則として、採択は取消しとなります。

2. 応募に当たっての留意事項

(1) 委託研究開発契約について

採択された研究開発課題については、その実施に当たり、研究開発課題を実施する研究機関とAMEDとの間で委託研究開発契約を締結することを原則※とします。

※ 詳細はVI. 章を参照してください。

(2) 府省共通研究開発管理システム (e-Rad) について

委託研究開発費においては、競争的資金制度を中心として研究開発管理に係る一連のプロセスをオンライン化した府省共通研究開発管理システム（以下「e-Rad」という。）を用いて応募を受け付けます。応募に当たっては、事業や各公募研究課題の概要等の記載内容をよく確認した上で、提案する研究開発の実施によりどのような成果を示せるかを十分検討の上、提案書類に記載してください。詳細は、IV. 2. 節を参照してください。

(3) 臨床試験登録制度への登録について

介入研究を実施する場合には「人を対象とする医学系研究に関する倫理指針」等に基づき、当該臨床試験を開始するまでに以下の三つのうちいずれかの臨床試験登録システムに登録を行ってください（委託研究開発成果報告書の提出時に、登録の有無を記載した報告書（様式自由）の添付を求めることがあります）。なお、登録された内容が、実施している研究の内容と齟齬がないか調査を行うことがありますのであらかじめご了解ください。

1) 大学病院医療情報ネットワーク (UMIN) 「臨床試験登録システム」

<http://www.umin.ac.jp/ctr/index-j.htm>

2) (財) 日本医薬情報センター (JAPIC) 「臨床試験情報」

http://www.clinicaltrials.jp/user/cte_main.jsp

3) 日本医師会治験促進センター「臨床試験登録システム」

<https://dbccentre3.jmacct.med.or.jp/jmactr/>

(4) 安全保障貿易管理について（海外への技術漏洩への対処）

研究機関では多くの最先端技術が研究されており、特に大学では国際化によって留学生や外国人研究者が増加する等、先端技術や研究用資材・機材等が流出し、大量破壊兵器等の開発・製造等に悪用される危険性が高まってきています。そのため、研究機関が当該委託研究開発を含む各種研究活動を行うにあたっては、軍事的に転用されるおそれのある研究成果等が、大量破壊兵器の開発者やテロリスト集団等懸念活動を行うおそれのある者に渡らないよう、研究機関による組織的な対応が求められます。

日本では、外国為替及び外国貿易法（昭和24年法律第228号）（以下「外為法」という。）に基づき輸出規制※が行われています。したがって、外為法で規制されている貨物や技術を輸出（提供）しようとする場合は、原則として、経済産業大臣の許可を受ける必要があります。外為法をはじめ、各府省が定める法令・省令・通達等を遵守してください。関係法令・指針等に違反し、研究開発を実施した場合には、研究開発費の配分の停止や、研究開発費の配分決定を取り消すことがあります。

※現在、我が国の安全保障輸出管理制度は、国際合意等に基づき、主に炭素繊維や数値制御工作機械等、ある一定以上のスペック・機能を持つ貨物（技術）を輸出（提供）しようとする場合に、原則として、経済産業大臣の許可が必要となる制度（リスト規制）と②リスト規制に該当しない貨物（技術）を輸出（提供）使用とする場合で、一定の要件（用途要件・需要者要件又はインフォーム要件）を満たした場合に、経済産業大臣の許可を必要とする制度（キャッチオール規制）があります。

物の輸出だけではなく技術提供も外為法の規制対象となります。リスト規制技術を外国の者（非居住者）に提供する場合等はその提供に際して事前の許可が必要です。技術提供には、設計図・仕様書・マニュアル・試料・試作品等の技術情報を、紙・メール・CD・USB メモリ等の記憶媒体で提供する事はもちろんのこと、技術指導や技能訓練等を通じた作業知識の提供やセミナーでの技術支援等も含まれます。外国からの留学生の受入れや、共同研究等の活動の中にも、外為法の規制対象となり得る技術のやりとりが多く含まれる場合があります。

経済産業省等のウェブサイトで、安全保障貿易管理の詳細が公開されています。詳しくは、下記を参照してください。

○経済産業省：安全保障貿易管理（全般）

<http://www.meti.go.jp/policy/ampo/>

○経済産業省：安全保障貿易ハンドブック（2014年第8版）

<http://www.meti.go.jp/policy/ampo/seminer/shiryu/handbook.pdf>

○一般財団法人安全保障貿易情報センター

<http://www.cistec.or.jp/>

○安全保障貿易に係る機微技術管理ガイダンス（大学・研究機関用）

http://www.meti.go.jp/policy/ampo/law_document/tutatu/t07sonota/t07sonota_jishukanri03.pdf

（５） 知的財産マネジメントについて

本事業では、国際的にも競争力のある基盤技術を確立し、新たな創薬標的の探索手段の拡充を目指しています。事業を円滑に実施し当該目的を達成するためには、参画者間での知的財産に関する取り決めが必要となることがあります。そのため、本事業の課題間連携において、必要に応じて、課題間で知的財産マネジメントに関して協議し、合意した内容を「知的財産合意書」として作成、提出いただく場合があります。

知的財産合意書に記載すべき項目としては、以下の１）～６）などが挙げられます。詳細につきましては、採択後、必要に応じてご相談ください。

- １）知的財産のマネジメント体制（知的財産管理委員会等及び知的財産戦略部門等）
- ２）秘密保持
- ３）バックグラウンド IP（プロジェクト参加者がプロジェクト開始前から保有していた知的財産権）の取扱い
- ４）フォアグラウンド IP（プロジェクト参加者が、プロジェクトの実施により得た知的財産権）の帰属
- ５）フォアグラウンド IP が共有である場合の取り扱い
- ６）知的財産権の実施許諾（プロジェクト期間中及び期間後）

IV. 公募・選考の実施方法

1. 公募研究開発課題の概要

本公募要領に含まれる公募研究開発課題の概要は以下のとおりです。各公募研究開発課題の詳細は XII. 章を参照してください。

#	分野等、公募研究開発課題名		研究開発費の規模	研究開発 予定期間	採択予定数
1-1	希少難治性疾患の 克服に結びつく病 態解明研究	若手研究開発代表者 による希少難治性疾 患の独創的な病態解 明研究	1 課題あたり年間 8,000 千円程度 (間接経費を含まず)	最長 3 年 2018 年度～ 2020 年度	0～10 課題 程度
1-2		希少難治性疾患の病 態解明研究	1 課題あたり年間 12,000 千円程度 (間接経費を含まず)	最長 3 年 2018 年度～ 2020 年度	0～5 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)	1 課題あたり年間 8,000 千円～ 24,000 千円程度 (間接経費を含まず)	最長 3 年 2018 年度～ 2020 年度	0～20 課題 程度
2-2		治験準備 (ステップ 1)	1 課題あたり年間 24,000 千円～ 60,000 千円程度 (間接経費を含まず)	最長 3 年 2018 年度～ 2020 年度	0～7 課題 程度
2-3-1		医師主導治験 [新規化合物治験 (ステップ 2)]	1 課題あたり年間 45,000 千円～ 90,000 千円程度 (間接経費を含まず)	最長 3 年 2018 年度～ 2020 年度	0～10 課題 程度
2-3-2		医師主導治験 [ドラッグ・リポジ ショニング治験 (ステップ 2)]	1 課題あたり年間 23,000 千円～ 45,000 千円程度 (間接経費を含まず)	最長 3 年 2018 年度～ 2020 年度	0～5 課題 程度
3	診療に直結するエビデンス創出研究		1 課題あたり年間 8,000 千円～ 12,000 千円程度 (間接経費を含まず)	最長 3 年 2018 年度～ 2020 年度	0～30 課題 程度
4	希少難治性疾患の研究及び医療の発展に 資する情報基盤構築研究 (難病プラット フォーム)		1 課題あたり年間 310,000 千円程度 (間接経費を含まず)	最長 3 年 2018 年度～ 2020 年度	0～1 課題 程度

5	未診断疾患イニシアチブ（Initiative on Rare and Undiagnosed Disease: IRUD）：希少未診断疾患に対する診断プログラムの開発に関する研究（※本研究開発分野においては、IRUD コーディネーティングセンター、IRUD 拠点病院、IRUD 解析センター、IRUD データセンターを統合し、IRUD コーディネーティングセンターを代表機関とする1研究開発課題として採択する。）			
5-1	IRUD コーディネーティングセンター	1 課題あたり年間 40,000 千円程度 (間接経費を含まず)	最長 3 年 2018 年度～ 2020 年度	1 課題程度
5-2	IRUD 拠点病院	1 課題あたり年間 4,000～8,000 千円程度 (間接経費を含まず)	最長 3 年 2018 年度～ 2020 年度	30～40 課題 程度
5-3	IRUD 解析センター	1 課題あたり年間 40,000～80,000 千円程度 (間接経費を含まず)	最長 3 年 2018 年度～ 2020 年度	3～5 課題程 度
5-4	IRUD データセンター	1 課題あたり年間 35,000 千円程度 (間接経費を含まず)	最長 3 年 2018 年度～ 2020 年度	1 課題程度

- 研究開発費の規模等はおおよその目安となります。
- 研究開発費の規模及び新規採択課題予定数等は、公募開始後の予算成立の状況等により変動することがあります。大きな変動があった場合には、全部又は一部の公募研究開発課題について提案書類の受付や課題の採択を取りやめる可能性があります。
- 複数の公募研究開発課題への応募は認められますが、競争的研究資金の不合理な重複及び過度の集中（詳細は VI. 9. (4) 項を参照してください）に該当しないことを示すため、同時に応募した研究開発課題の情報を研究開発提案書の該当欄へ必ず記載してください。

2. 提案書類の作成及び提出

(1) 提案書類様式の入手方法

提案書類の様式等、応募に必要な資料は AMED ウェブサイトの公募情報からダウンロードしてください。

<http://www.amed.go.jp/koubo/>

(2) 提案書類受付期間

2017 年 11 月 7 日（火）～2017 年 12 月 11 日（月）正午（厳守）

(注 1) e-Rad への登録において行う作業については、e-Rad の利用可能時間帯のみですので御注意ください。

(注 2) 全ての研究開発提案書等について、期限を過ぎた場合には一切受理できませんので御注意ください。

(注 3) 提案書類受付期間終了後、研究開発代表者に対して、AMED が電子メールや電話等で事務的な確認を行う場合があります。当該確認に対しては、AMED が指定する方法で速やかに回答してください（回答が得られない場合は当該提案が審査対象から除外されることがあります）。

(3) 提案書類の提出

提案書類の提出は、受付期間内に e-Rad にてお願いいたします。提案書類の記載（入力）に際しては、本項目及び提案書類中に示した記載要領等に従って、必要な内容を誤りなく記載してください。なお、受付期間終了後は提出いただいた提案書類の差し替え等には応じられません。

(a) システムの使用に当たっての留意事項

操作方法に関するマニュアルは、e-Rad ポータルサイト (<http://www.e-rad.go.jp/>) から参照又はダウンロードすることができます。システム利用規約に同意の上、応募してください。

1) システムの利用可能時間帯

サービス時間は平日、休日ともに 00:00~24:00

(注) 上記利用可能時間内であっても保守・点検を行う場合、e-Rad の運用を停止することがあります。e-Rad の運用を停止する場合は、e-Rad ポータルサイトにてあらかじめお知らせします。

2) 研究機関の登録

研究者が研究機関を経由して応募する場合、「研究開発代表者」が所属する研究機関、「分担機関」が担当する業務を管理する研究開発分担者」及び「研究開発分担者」が所属する研究機関は、原則として応募時まで e-Rad に登録されていることが必要となります。

研究機関の登録方法については、e-Rad ポータルサイトを参照してください。登録手続きに日数を要する場合がありますので、2 週間以上の余裕をもって登録手続きをしてください。なお、一度登録が完了すれば、他制度・事業の応募の際に再度登録する必要はありません。また、他制度・事業で登録済みの場合は再度登録する必要はありません。

応募時点で、特定の研究機関に所属していない、又は日本国外の研究機関に所属している場合には、提案書類の提出方法や特有の注意点等について別途御案内します。提案書類受付期間終了 1 週間前までを目処に、AMED までなるべくお早めにお問い合わせください。

3) 研究者情報の登録

研究課題に応募する「研究開発代表者」及び研究に参画する「研究開発分担者」は研究者情報を登録し、システムログイン ID、パスワードを取得することが必要となります。研究機関に所属している研究者の情報は研究機関が登録します。なお、過去に厚生労働省の科学研究費補助金制度などで登録されていた研究者情報は、既にこのシステムに登録されています。研究者番号等を確認の上、所属情報の追加を行ってください。研究機関に所属していない研究者の情報は、府省共通研究開発管理システム運用担当で登録します。必要な手続きは e-Rad ポータルサイトを参照してください。

(b) システム上で提出するに当たっての注意

1) 提案書類様式のダウンロード

制度・事業内容を確認の上、所定の様式ファイルをダウンロードしてください。

2) ファイル種別

電子媒体の様式は、アップロードを行う前に PDF 変換を行う必要があります。PDF 変換はログイン後のメニューから行ってください。また、同じくメニューから変換ソフトをダウンロードし、パソコンへインストールしてお使いいただくこともできます。(システムへの負荷軽減と安定稼働の実現のため、旧

システムでは可能だった Word 等の形式のままでの提出は行えなくなりました。)。外字や特殊文字等を使用した場合、文字化けする可能性がありますので、変換された PDF ファイルの内容をシステムで必ず確認してください。利用可能な文字に関しては、研究者向け操作マニュアルを参照してください。

3) 画像ファイル形式

提案書類に貼り付ける画像ファイルの種類は「GIF」、「BMP」、「JPEG」、「PNG」形式のみとしてください。それ以外の画像データ（例えば、CAD やスキャナ、PostScript や DTP ソフトなど別のアプリケーションで作成した画像等）を貼り付けた場合、正しく PDF 形式に変換されません。画像データの貼り付け方については、研究者向け操作マニュアルを参照してください。

4) ファイル容量

アップロードできるファイルの最大容量は 10 MB です。

5) 提案書類のアップロード

提案書類は、PDF に変換しアップロードしてください。

6) 所属機関の承認

「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ください。

7) 受付状況の確認

提案書類の受理確認は、システムの「応募課題情報管理」画面から行うことができます。受付期間終了時点で、「応募課題情報管理」画面の応募状況が「配分機関処理中」となっていない提案書類は無効となります。

8) 提出後の提案書類の修正

いったん提出した提案書類を修正するには、受付期間内に「引戻し」操作を行い、修正した後に再度提出する必要があります。具体的な操作については研究者向け操作マニュアルを参照してください。

9) その他

上記以外の注意事項や内容の詳細については、e-Rad ポータルサイト（研究者向けページ）に随時掲載しておりますので、御確認ください。

(c) システムの操作方法に関する問い合わせ先

システムの操作方法に関する問い合わせは、e-Rad ポータルサイトのヘルプデスクにて受け付けます（XI. 章を参照してください）。ポータルサイトのほか、「よくある質問と答え（FAQ）ページ」もよく確認の上、問い合わせてください。なお、公募要領の内容、審査状況、採否に関する問い合わせには一切回答できません。

(4) スケジュール等

本事業における採択までのスケジュールは、公募開始時点で以下のとおり予定しています。審査の実施方法の詳細はIV. 章 3. 節を参照してください。

書面審査

2017 年 12 月下旬～2018 年 1 月上旬頃

ヒアリング審査 2018年1月19日（金）、22日（月）、25日（木）、26日（金）のいずれかの
指定日時 ※必要に応じて実施

（注1）審査期間中、研究開発代表者に対して、審査の過程で生じた照会事項をAMEDが電子メールで送付することがあります。当該照会に対しては、照会時にAMEDが指定する方法で、期日までに回答してください。

また、提案書類受付期間終了後から採択可否の通知までの間、研究開発代表者に対して、AMEDが事務的な確認を行うことがあります。当該確認に対しても、確認時にAMEDが指定する方法で、期日までに回答してください。

これらの回答は、提案の受理不受理の判断、審査、採択可否の判断等での参考情報となります。

（注2）ヒアリング審査を実施する場合は、対象課題の研究開発代表者に対して、原則としてヒアリング審査の1週間前までに電子メールにて御連絡します。ヒアリング審査の実施や日程に関する情報更新がある場合は、IV. 2.（1）項に記載のAMEDウェブサイトの公募情報に掲載しますので、併せて参照してください。ヒアリング審査の対象か否かに関する個別回答はいたしかねます。

ヒアリング審査対象外の場合や、ヒアリング審査自体が実施されない場合には、この御連絡はいたしませんので、採択可否の通知までお待ちください（書面審査のみで採択に至る場合もあります）。

（注3）ヒアリング審査の対象者は原則として研究開発代表者等とします。ヒアリング審査の日程は変更できません。

採択可否の通知 予定日 2018年3月中旬頃

（注）採択課題候補となった課題の研究開発代表者に対しては、審査結果等を踏まえた目標や実施計画、実施体制等の修正を求めることや、研究開発費合計額の変更を伴う採択条件を付すことがあります。これらの場合においては、計画の妥当性について、再度検討を行う可能性があります。

研究開発開始（契約締結等） 予定日 2018年4月1日または中旬頃

（注）この「予定日」は、提案時に研究開始時期を見据えた最適な研究開発計画を立てていただくこと、また、採択決定後、契約締結等までの間で、あらかじめ可能な準備を実施していただき、契約締結後、速やかに研究を開始いただくこと、などを考慮して明示するものであり、契約締結等をお約束するものではありません。この「予定日」に契約を締結等するためには、研究開発計画（研究開発費や研究開発体制を含む。）の作成や調整について、研究機関等の皆様のご尽力をいただくことが必要となります。AMEDにおいても、PS・PO等との調整などを速やかに実施し、早期の契約締結等に努めていきます。

3. 提案書類の審査の実施方法

（1） 審査方法

本事業における研究開発課題の採択に当たっては、実施の必要性、目標や計画の妥当性を把握し、予算等の資源配分の意思決定を行うため、外部の有識者等の中からAMED理事長が指名する課題評価委員会委員を評価者とする課題事前評価（審査）を実施します。課題評価委員会は、定められた評価項目について評価を行い、AMEDはこれをもとに採択課題を決定します。

（a）審査は、AMEDに設置した課題評価委員会において、非公開で行います。

（b）課題評価委員会は、提出された提案書類の内容について書類選考（書面審査）及び必要に応じて面接（ヒアリング審査）を行い※、審議により評価を行います。

※ 審査の過程で研究開発代表者に資料等の追加提出を求める場合があります。

(c) 採択に当たっては、研究開発代表者に対して、審査結果等を踏まえた目標や実施計画、実施体制等の修正※を求めることや、研究開発費合計額の変更を伴う採択条件を付すことがあります。これらの場合においては、計画の妥当性について、再度検討を行う可能性があります。

※ 採択された場合、ここで修正された目標等がその後の中間評価や事後評価の際の評価指標の1つとなります。採択課題の管理と評価についてはVII.章を参照してください。

(d) 審査終了後、AMED は研究開発代表者に対して、採択可否等について通知します。なお、選考の途中経過についての問い合わせには一切応じられません。

(e) 課題評価委員会委員には、その職務に関して知り得た秘密について、その職を退いた後も含め漏洩や盗用等を禁じることを趣旨とする秘密保持遵守義務が課せられます。

(f) 採択課題の研究開発課題名や研究開発代表者氏名等は、後日、AMED ウェブサイトへの掲載等により公開します。また、評価委員の氏名については、原則として、毎年度1回、AMED 全体を一括して公表します。

(g) 公正で透明な評価を行う観点から、AMED の規定に基づき、評価委員の利益相反マネジメントを行っています。評価委員が下記に該当する場合は、利益相反マネジメントの対象としてAMED に対し申告を求め、原則として当該課題の評価に携わらないものとします。なお、評価の科学的妥当性を確保する上で特に必要があり、かつ、評価の公正かつ適正な判断が損なわれないと委員長が認めた場合には、課題の評価に参加することがあります。

- 1) 被評価者が家族であるとき
- 2) 被評価者が大学、国立研究開発法人、国立試験研究機関等の研究機関において同一の学科等又は同一の企業に所属している者であるとき
- 3) 被評価者が課題評価委員会の開催日の属する年度を含む過去3年度以内に緊密な共同研究を行った者であるとき
- 4) 被評価者が博士論文の指導を行い、又は受ける等緊密な師弟関係にある者であるとき
- 5) 被評価者から当該委員が、課題評価委員会の開催日の属する年度を含む過去3年度以内に、いずれかの年度において100万円を超える経済的利益を受けているとき
- 6) 被評価者と直接的な競合関係にあるとき
- 7) その他深刻な利益相反があると認められるとき

(h) 応募しようとする者、応募した者は、AMED 役職員、プログラムディレクター、PS・P0、評価評価委員に対し、評価及び採択についての働きかけを行わないでください。

(2) 審査項目と観点

本事業における課題の採択に当たっては、提案書類について以下の観点に基づいて審査します。分担機関を設定した研究開発課題を提案する場合は、研究開発を遂行する上での分担機関の必要性和、分担機関における研究開発の遂行能力等も評価の対象となります。

(a) 事業趣旨等との整合性

- ・事業趣旨、目標等に合致しているか

(b) 科学的・技術的な意義及び優位性

- ・ 独創性、新規性、革新性を有しているか。
- ・ 社会的ニーズに対応するものであるか。
- ・ 医療分野の研究開発の進展に資するものであるか。
- ・ 新知見や技術の創出に資するものであるか。
- ・ 現在の技術レベル及びこれまでの実績は十分にあるか。

(c) 実施体制

- ・ 申請者を中心とした研究開発体制が適切に組織されているか。
- ・ 必要に応じた十分な連携体制が構築されているか。
- ・ 申請者等のエフォートは適切であるか。
- ・ 不合理な重複/過度の集中はないか。
- ・ 研究者の多様性（女性・若手・企業等）に配慮しているか

(d) 計画の妥当性

- ・ 全体計画（ロードマップ）の内容と目的は明確であるか。
- ・ 年度ごとの計画（マイルストンの設定等）は具体的なものでかつ、実現可能であるか。
- ・ 生命倫理、安全対策に対する法令等を遵守した計画となっているか。

(e) 所要経費

- ・ 経費の内訳、支出計画等は妥当であるか。
- ・ 経費を削減するための工夫はなされているか。

(f) その他事業で定める項目及び総合的に勘案すべき項目

- ・ 社会への影響及び波及効果を有しているか。
- ・ 国費を用いる妥当性があるか。
- ・ 適切な人材育成計画が立案されているか。
- ・ 医療経済的視点は盛り込まれているか。

（参考資料：「医療経済的視点も踏まえた医療の研究開発推進の在り方についての検討結果及びこれを受けた対応等について」<https://www.amed.go.jp/news/program/20161226.html>）

なお、①事業趣旨、目標等に合致していない、②申請者等のエフォートが適切でない、③研究開発費の不合理な重複、過度の集中がある、④生命倫理、安全対策に対する法令等を遵守していない、と考えられる研究開発計画については、上記評価に関わらず採択がなされない場合があります。

また、過去にAMED等の公的資金を受けた研究班と実質的に同一の研究開発体制等によって、過去の課題事後評価結果の確定後おおむね1年以内に実施される公募等に対して本研究開発提案がなされた場合で、かつ、研究提案者が課題事後評価結果を資料として提出した場合、又はその内容が過去の事後評価対象課題の継続・発展等密接に関連するものであると過去の事業のPS等が認めるときは、過去の課題事後評価結果のうち必要な情報が本公募の課題事前評価の評価者に提供される場合があります。

4. 若手研究者の登用の推進

AMED では、公的研究費を支出する事業共通の意義として、広く我が国の未来を担う研究者を育成し、また育てられた人材を通じて研究成果を社会へ還元することを推進しており、したがって AMED 事業においては、積極的に若手研究者を登用することが望まれます。また、課題採択後、中間評価等で研究開発継続の可否及び配分額を決定する上で、若手研究者の登用及び育成が計画的かつ適切になされているかどうかを考慮することがあります。

本事業も含め、事業によっては研究開発代表者を若手研究者であることを要件とする若手育成枠を特別に設けているものがあるので、若手研究者がこれらの事業に積極的に応募されることを期待します。

V. 提案書類の作成と注意

1. 提案書類等に含まれる情報の取扱い

(1) 情報の利用目的

提案書類等に含まれる情報は、研究開発課題採択のための審査のほか、研究開発費の委託業務、X 章に記載されている研究支援のために利用されます。

また、研究開発提案書要約の情報は、新規事業創出等の AMED 事業運営に資する研究動向の分析にも利用します。

独立行政法人等の保有する個人情報の保護に関する法律等を踏まえ、提案者の権利利益を不当に侵害することがないように、提案書類等に含まれる情報に関する秘密は厳守します。詳しくは総務省のウェブサイト※を参照してください。

※ 「行政機関・独立行政法人等における個人情報の保護 > 法制度の紹介」（総務省）

http://www.soumu.go.jp/main_sosiki/gyoukan/kanri/horei_kihon.html

(2) 必要な情報公開・情報提供等

(a) e-Rad 上の課題等の情報の取扱い

採択された個々の課題に関する情報（事業名、研究課題名、研究者名、所属研究機関名、予算額及び実施期間等）は、整理・分類し AMED のウェブサイトから公開するほか、マクロ分析に必要な情報は AMED において分析され、又は e-Rad を通じて内閣府に提供され、分析結果が公表される場合があります。そのため、課題採択後においても、各年度の研究成果情報（論文・特許等）及び会計実績情報の e-Rad への入力をお願いします。

(b) e-Rad からの内閣府への情報提供等

第 5 期科学技術基本計画（平成 28 年 1 月 22 日閣議決定）においては、客観的根拠に基づく科学技術イノベーション政策を推進するため、公募型資金について、府省共通研究開発管理システム（e-Rad）への登録の徹底を図って評価・分析を行うこととされており、e-Rad に登録された情報は、国の資金による研究開発の適切な評価や、効果的・効率的な総合戦略、資源配分方針等の企画立案等に活用されます。

これを受けて、内閣府 総合科学技術・イノベーション会議（GSTI）及び関係府省では、公募型研究資金制度のインプットに対するアウトプット、アウトカム情報を紐付けるため、論文・特許等の成果情報や会計実績の e-Rad での登録を徹底することとしています。

このため、研究開発代表者の所属機関は、研究開発代表者をして、採択された課題に係る各年度の研究成果情報（論文・特許等）・会計実績情報については AMED への成果報告書の提出期限までに、競争的資金に係る間接経費執行実績情報については「競争的資金の間接経費の執行に係る共通指針」で定める期限までに、e-Rad 上で指定された入力項目を登録させるようお願いします。登録された研究成果情報（論文・特許等）・会計実績情報を含め、マクロ分析に必要な情報が内閣府に提供されることとなります。

(c) 不合理な重複・過度の集中排除のための、応募内容に関する情報提供

不合理な重複・過度の集中を排除するために必要な範囲内で、提案書類等に含まれる一部の情報を、e-Rad などを通じて、他府省等を含む他の競争的資金等の担当部門に情報提供（データの電算処理及び管理を外部の民間企業に委託して行わせるための個人情報の提供を含む）する場合があります。また、他の競争的資金制度等におけるこれらの重複応募等の確認を求められた際にも、同様に情報提供を行う場合があります。

2. 提案書類の様式及び作成上の注意

(1) 提案書類の様式

提案書類の様式は、「研究開発提案書」及び指定の要約とします。簡潔かつ明瞭に各項目を記載してください。応募に際し提出が必要な書類の一覧はXIXII. 章を参照してください。

(2) 提案書類の作成

応募は e-Rad にて行います。提案書類の作成に当たっては、(3) に示す注意事項も併せて御覧ください。提案書類に不備がある場合、受理できないことがあります。

様式への入力に際しては、以下の事項に注意してください。

- 1) 提案書類は、原則として日本語で作成し、要約については英語と日本語で作成してください。
- 2) 字数制限や枚数制限を定めている様式については、制限を守ってください。
- 3) 入力する文字のサイズは、原則として 10.5 ポイントを用いてください。
- 4) 数値は、原則として半角で入力してください。（(例) 郵便番号、電話番号、金額、人数等）
- 5) 提案書類は、下中央に通しページ (-1-) を付与してください。
- 6) 提案書類の作成はカラーでも可としますが、白黒コピーをした場合でも内容が理解できるように作成してください。

(3) 提案書類作成上の注意

(a) 省令・倫理指針等の遵守

研究開発計画の策定に当たっては法律、各府省が定める省令・倫理指針等を遵守してください。詳細は VI. 章 4. 節 (4) 項を参照してください。

(b) 研究開発課題の提案に対する機関の承認

研究開発代表者が提案書類を提出するに当たっては、代表機関（研究開発代表者が所属し、AMED と直接委託契約を締結する研究機関）の長の了承を取ってください。また、複数の研究機関が共同で研究を実施する研究提案を提出する場合には、参加する全ての研究機関の長の了承を得てください。

(c) 研究開発提案内容の調整

研究開発課題の採択に当たっては、予算の制約等の理由から、提案された計画の修正を求めることがあります。また、今後、採択された研究開発課題の実施に当たって、割り当てられる経費・実施期間は、予算の制約等により変わる場合がありますので、あらかじめご了承ください。

(d) 対象外となる提案について

以下に示す研究開発課題の提案は本事業の対象外となります。

- 1) 単に既製の設備備品の購入を目的とする提案
- 2) 他の経費で措置されるのがふさわしい設備備品等の調達に必要な経費を、本事業の経費により賄うことを想定している提案

(4) 研究開発提案書以外に必要な書類※について

(a) PMDA の事前面談・対面助言の記録等

独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）が実施する「レギュラトリーサイエンス戦略相談（以下 RS 戦略相談という。）」のうち、事前面談を実施済みの場合はサマリー（様式自由；アカデミア側作成の要旨で可）を、対面助言を実施済みの場合は対面助言記録及び別紙（相談内容）を、それぞれ添付していただきます。詳細は XII. 章の各公募研究開発課題に記載されている留意点等を参照してください。

（注）実用化段階に移行する研究開発課題（RS 戦略相談の対象範囲となる研究開発課題）においては、その契約条件として、原則採択後 1～2 年目に対面助言を受けていただくこととなります（受けるべき時期等、詳細は VII. 章 1 節を参照してください）。応募時点で対面助言を実施済みであることは必須ではありませんが、対面助言を受け、その相談結果を研究開発計画に反映させていることが望まれます。

(b) 臨床試験に関する資料等

革新的な医薬品や医療機器の創出を念頭に置いた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；応募時点で未実施の場合は案で可）等の臨床試験に関する資料等を添付していただきます。詳細は XII. 章の各公募研究課題に記載されている留意点等を参照してください。

※ 新しい医薬品や医療機器の創出を目的としていない研究や新しい医療技術の評価、通常の承認プロセスと異なるものは対象外とします。

(c) 動物実験に関する自己点検・評価結果

研究機関等における動物実験等の実施に関する基本指針（平成 18 年文部科学省告示第 71 号）又は厚生労働省の所管する実施機関における動物実験等の実施に関する基本指針（平成 18 年 6 月 1 日付厚生労働省大臣官房厚生科学課長通知）に定められた動物種を用いて動物実験を実施する機関については、本基本指針に基づき、機関自らが実施した本基本指針への適合性に関する自己点検・評価結果のうち、直近で実施したものの写しの提出を求めることがあります。

(d) 研究開発にかかるマネジメントに関する資料等

研究管理の適切性を確認する観点から、今後、医薬品に係る標記の資料の提出を求めることがあります。また、必要に応じ、その内容について照会することがあります。

※ 情報管理の観点で、提出する書類には右上部に「機密性 2 情報」と明示ください

VI. 委託研究開発契約の締結等

1. 委託研究開発契約の締結

(1) 契約条件等

採択された研究開発課題については、研究開発課題を実施する機関※と AMED との間で、国の会計年度の原則に従い単年度の委託研究開発契約を締結することになります。詳細は採択後に AMED からご案内します。

契約を締結するに当たっては、課題評価委員会、PS・P0 等の意見を踏まえ、採択時に付された条件が満たされていない場合、契約の内容（経費の積算を含む。）や方法が双方の合意に至らない場合等には、採択された研究開発課題であっても契約しないことがあります。

契約締結後においても、予算の都合等により、やむを得ない事情が生じた場合には、研究開発計画の見直し又は中止を求めることがあります。

PS・P0 等が、研究進捗状況等を確認し、年度途中での研究開発計画の見直し等による契約変更や課題の中止を行うことがあります。

※ 国の施設等機関等（国の施設等機関及び公設試験研究機関を総称したものをいう。）である代表機関又は分担機関については、相当の事由に基づき当該機関及び当該機関に所属する研究開発代表者又は研究開発分担者が申し出た場合に限り、AMED との協議を経て、AMED から当該機関に所属する研究開発代表者又は研究開発分担者へ間接補助金を交付する方式をとることがあります（その場合、AMED が定める補助金取扱要領に従うこととします）。このとき、間接補助金の経理に係る事務については当該機関の長に委任していただきます。

なお、研究開発計画において代表機関と分担機関の研究内容が一体的に進める必要性が認められる場合等であって、分担機関が国の施設等機関等でない場合には、本事業においては再委託として取り扱うことを認めることがあります。ただし、再委託の場合であっても、再委託先においては機関経理を行うことを原則とし、さらに AMED の求めに応じて監査等に応じることを条件とします。

(2) 契約締結の準備について

研究開発課題の採択後、速やかに契約の締結が進められるよう、受託者は、

- (a) 全体研究開発計画書及び研究開発計画書※の作成
- (b) 業務計画に必要な経費の見積書の取得
- (c) 会計規程及び職務発明規程等の整備

を実施しておく必要があります。

※ 全体研究開発計画書は、採択時の研究開発提案書を基に研究開発課題ごとに各一通作成いただきます。全実施期間の研究開発構想を中心に、基本計画、研究開発内容、研究開発体制、予算計画等を記載してください。同計画書は、年度における予算配分の検討及び中間・事後評価や課題進捗管理の基礎資料の一つとなります。研究開発計画書は、各年度の委託研究開発契約締結の際に、契約ごとに各一通作成いただきます。計画書様式は、採択後に別途ご連絡いたします。

(3) 契約に関する事務処理

AMED「委託研究開発契約事務処理説明書」※に基づき、必要となる事務処理を行ってください。

※ http://www.amed.go.jp/keiri/youshiki_itaku.html

(4) 委託研究開発費の額の確定等について

当該年度の委託研究開発契約期間終了後、委託研究開発契約書に基づいて提出していただく委託研究開発実績報告書を受けて行う委託研究開発費の額の確定等において、研究に要する経費の不正使用又は当該委託業務として認められない経費の執行等が判明した場合は、経費の一部又は全部の返還を求める場合があります。また、不正使用等を行った研究の実施者は、その内容の程度により一定期間契約をしないこととなります（詳細はVI. 章8. 節を参照してください）。

2. 委託研究開発費の範囲及び支払い等

(1) 委託研究開発費の範囲

本事業では競争的資金において共通して使用することになっている府省共通経費取扱区分表に基づき、以下のとおり費目構成を設定しています。詳細は AMED「委託研究開発契約事務処理説明書」※¹を参照してください。

	大項目	定義
直接経費	物品費	研究用設備・備品・試作品、ソフトウェア（既製品）、書籍購入費、研究用試薬・材料・消耗品の購入費用
	旅費	研究開発参加者に係る旅費、外部専門家等の招聘対象者に係る旅費
	人件費・謝金	人件費：当該委託研究開発のために雇用する研究員等の人件費 謝金：講演依頼、指導・助言、被験者、通訳・翻訳者、単純労働等の謝金等の経費
	その他	上記のほか、当該委託研究開発を遂行するための経費例） 研究成果発表費用（論文投稿料、論文別刷費用、HP 作成費用等）、会議費、運搬費、機器リース費用、機器修理費用、印刷費、外注費、不課税取引等に係る消費税相当額等
間接経費※ ²	直接経費に対して一定比率（30%以内）で手当され、当該委託研究開発の実施に伴う研究機関の管理等に必要な経費として AMED が支払い、研究機関が使用する経費	

※¹ http://www.amed.go.jp/keiri/youshiki_itaku.html

※² AMED が国立大学法人、大学共同利用機関法人、独立行政法人、特殊法人、特例民法法人、一般社団法人、一般財団法人、公益社団法人、公益財団法人、民間企業又は私立大学等と委託研究開発契約を締結して、研究開発を実施する場合に措置されます。国の施設等機関（国立教育政策研究所を除く）に所属する研究者である場合は対象外となります。なお、間接経費は、分担機関（国の施設等機関等を除く）についても、配分される直接経費に応じて配分されます。

(2) 委託研究開発費の計上

研究開発に必要な経費を算出し、総額を計上してください。経費の計上及び精算は、原則として AMED 「委託研究開発契約事務処理説明書」※の定めによるものとします。

※ http://www.amed.go.jp/keiri/youshiki_itaku.html

(注) AMED における研究者主導治験・臨床試験での委託研究開発契約では、今後、「研究者主導治験又は臨床試験における症例単価表を用いた契約管理方式」を導入します※。採択された研究開発課題がその対象と認められる場合には、あらかじめ定められた内部受託規程（「研究者主導治験又は臨床試験における受託研究取扱規程」（仮称））に基づき治験・臨床試験における症例登録等が行われる体制が研究機関に整備されていれば、症例登録等を研究機関の長から他の医療機関に対して一種の外注形式で依頼できるものとします。詳細は AMED 「研究費の運用：研究者主導治験又は臨床試験における医療機関経費の管理について」（https://www.amed.go.jp/aboutus/kenkyu_unyo.html）を参照してください。

※ 治験・臨床試験の業務支援体制が充実している施設においては、当分の間、従来方式でも可とします。

(3) 委託研究開発費の支払い

支払額は、四半期ごとに各期とも当該年度における直接経費及び間接経費の合計額を均等 4 分割した額を原則とします。

(4) 間接経費に係る領収書等の証拠書類の整備について

AMED 「委託研究開発契約事務処理説明書」※で確認してください。

※ http://www.amed.go.jp/keiri/youshiki_itaku.html

3. 委託研究開発費の繰越

本事業では、事業の進捗に伴い、研究に際しての事前の調査又は研究方式の決定の困難、計画に関する諸条件、気象の関係、資材の入手難、その他のやむを得ない事由により、年度内に支出を完了することが期し難い場合には、財務大臣の承認を経て、最長翌年度末までの繰越を認める場合があります。

詳細は、AMED 「委託研究開発契約事務処理説明書」※で確認してください。

※ http://www.amed.go.jp/keiri/youshiki_itaku.html

4. 本事業を実施する研究機関の責務等

(1) 法令の遵守

研究機関は、本事業の実施に当たり、その原資が公的資金であることに鑑み、関係する国の法令等を遵守し、事業を適正かつ効率的に実施するよう努めなければなりません。特に、不正行為^{※1}、不正使用^{※2}及び不正受給^{※3}（以下、これら3つをあわせて「不正行為等」という。）を防止する措置を講じることが求められます。

※1 「不正行為」とは、研究者等により研究活動において行われた、故意又は研究者としてわきまえるべき基本的な注意義務を著しく怠ったことによる、投稿論文など発表された研究成果の中に示されたデータや調査結果等（以下「論文等」という。）の捏造、改ざん及び盗用をいい、それぞれの用語の意義は、次に定めるところによります。

ア 捏造（ねつぞう）：存在しないデータ、研究結果等を作成すること。

イ 改ざん：研究資料・機器・過程を変更する操作を行い、データ、研究活動によって得られた結果等を真正でないものに加工すること。

ウ 盗用：他の研究者等のアイデア、分析・解析方法、データ、研究結果、論文又は用語を、当該研究者の了解又は適切な表示なく流用すること。

※2 「不正使用」とは、研究者等による、故意又は重大な過失による、公的研究資金の他の用途への使用又は公的研究資金の交付の決定の内容やこれに付した条件に違反した使用（研究計画その他に記載した目的又は用途、法令・規則・通知・ガイドライン等に違反した研究資金の使用を含むがこれらに限られない）をいいます。

※3 「不正受給」とは、研究者等が、偽りその他不正の手段により公的研究資金を受給することをいいます。

(注) 上述の定義において、「研究者等」とは、公的研究資金による研究活動に従事する研究者、技術者、研究補助者その他研究活動又はそれに付随する事務に従事する者をいいます。

(2) 研究倫理教育プログラムの履修・修了

不正行為・不正使用・不正受給を未然に防止する取組みの一環として、AMED は、事業に参画する研究者に対して、研究倫理教育に関するプログラムの履修・修了を義務付けることとします。研究機関には、研究者に対する倫理教育を実施し、その履修状況を AMED に報告していただきます（詳細は VI. 章 6. 節及び AMED のウェブサイトをご覧ください）。

なお、AMED が督促したにもかかわらず当該研究者等が定める履修義務を果たさない場合は、委託研究開発費の全部又は一部の執行停止等を研究機関に指示することがあります。研究機関は、指示に従って委託研究開発費の執行を停止し、指示があるまで、委託研究開発費の執行を再開しないでください。

(3) 利益相反の管理について

研究の公正性、信頼性を確保するため、AMED の「研究活動における利益相反の管理に関する規則」（改正平成 29 年 6 月 30 日規則第 90 号）に基づき、研究開発課題に関わる研究者の利益相反状態を適切に管理するとともに、その報告を行っていただきます。

研究機関等が AMED 事業における研究開発において、研究開発代表者及び研究開発分担者の利益相反を適切に管理していないと AMED が判断した場合、AMED は研究機関に対し、改善の指導又は研究資金の提供の打ち切り並びに AMED から研究機関に対して既に交付した研究資金の一部又は全部の返還請求を行うことがあります。詳細は VI. 章 7. 節及び AMED のウェブサイトを参照してください。

(4) 法令・倫理指針等の遵守について

研究開発構想を実施するにあたって、相手方の同意・協力を必要とする研究開発、個人情報取扱の配慮を必要とする研究開発、生命倫理・安全対策に対する取組を必要とする研究開発等、法令・倫理指針等に基づく手続きが必要な研究が含まれている場合には、研究機関内外の倫理委員会の承認を得る等必要な手続きを行ってください。

遵守すべき関係法令・指針等に違反し、研究開発を実施した場合には、研究停止や契約解除、採択の取消し等を行う場合がございますので、留意してください。

また、研究開発計画に相手方の同意・協力や社会的コンセンサスを必要とする研究開発又は調査を含む場合には、人権及び利益の保護の取扱いについて、適切な対応を行っていただきますようお願いいたします。

これらの関係法令・指針等に関する研究機関における倫理審査の状況については、事業年度の終了後一定期間内に、AMED に対して利益相反管理の状況とともに報告を行っていただく予定です。

特にライフサイエンスに関する研究開発について、各府省が定める法令等の主なものは以下のとおりです。このほかにも研究開発内容によって法令等が定められている場合がありますので、最新の改正を御確認いただきますようお願いいたします。

- 1) ヒトに関するクローン技術等の規制に関する法律（平成 12 年法律第 146 号）
- 2) 感染症の予防及び感染症の患者に対する医療に関する法律（平成 18 年法律第 106 号）
- 3) 遺伝子組換え生物等の使用等の規制による生物多様性の確保に関する法律（平成 15 年法律第 97 号）
- 4) 再生医療等の安全性の確保等に関する法律（平成 25 年法律第 85 号）
- 5) 臨床研究法（平成 29 年法律第 16 号）
- 6) 特定胚の取扱いに関する指針（平成 13 年文部科学省告示第 173 号）
- 7) ヒト ES 細胞の樹立に関する指針（平成 26 年文部科学省・厚生労働省告示第 2 号）
- 8) ヒト ES 細胞の分配及び使用に関する指針（平成 26 年文部科学省告示第 174 号）
- 9) ヒト iPS 細胞又はヒト組織幹細胞からの生殖細胞の作成を行う研究に関する指針」（平成 22 年文部科学省告示 88 号）
- 10) ヒトゲノム・遺伝子解析研究に関する倫理指針（平成 25 年文部科学省・厚生労働省・経済産業省告示第 1 号）
- 11) 医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令（平成 9 年厚生省令第 28 号）
- 12) 医療機器の臨床試験の実施の基準に関する省令（平成 17 年厚生労働省令第 36 号）
- 13) 再生医療等製品の臨床試験の実施の基準に関する省令（平成 26 年厚生労働省第 89 号）
- 14) 医薬品の安全性に関する非臨床試験の実施の基準に関する省令（平成 9 年厚生労働省令第 21 号）
- 15) 医療機器の安全性に関する非臨床試験の実施の基準に関する省令（平成 17 年厚生労働省令第 37 号）
- 16) 再生医療等製品の安全性に関する非臨床試験の実施の基準に関する省令（平成 26 年厚生労働省令第 88 号）
- 17) 手術等で摘出されたヒト組織を用いた研究開発の在り方について（平成 10 年厚生科学審議会答申）
- 18) 人を対象とする医学系研究に関する倫理指針（平成 26 年度文部科学省・厚生労働省告示第 3 号）
- 19) 遺伝子治療臨床研究に関する指針（平成 16 年文部科学省・厚生労働省告示第 2 号）
- 20) ヒト受精胚の作成を行う生殖補助医療研究に関する倫理指針（平成 22 年文部科学省・厚生労働省告示第 2 号）
- 21) 研究機関等における動物実験等の実施に関する基本指針（平成 18 年文部科学省告示第 71 号）、厚生労働省の所管する実施機関における動物実験等の実施に関する基本指針（平成 18 年 6 月 1 日付厚生労働省大臣官房厚生科学課長通知））又は農林水産省の所管する研究機関等における動物実験等の実施に関する基本指針（平成 18 年 6 月 1 日付農林水産省農林水産技術会議事務局長通知）

（注）生命倫理及び安全の確保について、詳しくは下記ウェブサイトを参照してください。

・文部科学省ライフサイエンスの広場「生命倫理・安全に対する取組」

<http://www.lifescience.mext.go.jp/bioethics/index.html>

・厚生労働省「研究に関する指針について」

<http://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/hokabunya/kenkyujigyoku/i-kenkyu/index.html>

（5） 委託研究開発費の執行についての管理責任

委託研究開発費は、委託研究開発契約に基づき、研究機関に執行していただきます。そのため、研究機関は、「競争的資金等の管理は研究機関の責任において行うべき」との原則に従い、研究機関の責任において研究費の管理を行っていただきます。

(6) 体制整備に関する対応義務

各研究機関には、「研究機関における公的研究費の管理・監査のガイドライン（実施基準）」（平成26年3月31日制定、平成29年2月23日最終改正）、「厚生労働分野の研究活動における不正行為への対応等に関するガイドライン」（平成27年1月16日制定、平成29年2月23日最終改正）等に則り、研究機関に実施が要請されている事項につき遵守していただきます。

5. 本事業の研究活動に参画する研究者の責務等について

(1) 委託研究開発費の公正かつ適正な執行について

本事業の研究活動に参画する研究者等は、AMEDの委託研究開発費が国民の貴重な税金で賄われていることを十分に認識し、公正かつ適正な執行及び効率的な執行をする責務があります。

(2) 応募における手続等

研究開発担当者となる研究者等は、応募に際しては自身が研究開発課題を実施する機関への事前説明や事前承諾を得る等の手配を適切に行ってください。

(3) 研究倫理教育プログラムの履修・修了

本事業に参画する研究者は、不正使用・不正受給・不正行為を未然に防止するために研究倫理教育に関するプログラムを修了する必要があります（詳細はVI.章6.節を参照してください）。なお、研究倫理教育プログラムの修了がなされない場合には、修了が確認されるまでの期間、委託研究開発費の執行を停止等することがありますので、御留意ください。

6. 研究倫理プログラムの履修等

(1) 履修プログラム・教材について

後記(2)の履修対象者は、以下のいずれかのプログラム・教材を履修してください。

- ・APRIN eラーニングプログラム (CITI Japan)
- ・「科学の健全な発展のために―誠実な科学者の心得―」
(日本学術振興会「科学の健全な発展のために」編集委員会)
- ・研究機関等が上記と内容的に同等と判断したプログラム

(2) 履修対象者について

履修対象者は、研究機関等が、AMEDの所管する研究費により行われる研究活動に実質的に参画していると判断する研究者です。

(3) 履修時期について

履修対象者は、原則、研究開発期間の初年度内に履修してください。その後も適切に履修してください（過去の履修が有効となる場合があります）※。

※ 詳細はAMEDウェブサイト（http://www.amed.go.jp/kenkyu_kousei/）に掲載のQ&Aを御参照ください。

（４） 研究機関等の役割について

研究機関等は、自己の機関（委託先を含む。）に属する上記（２）の履修対象者に、上記（１）のプログラム・教材による研究倫理教育を履修させ、履修状況をAMEDへ報告してください。

（５） 履修状況の報告について

研究機関等が取りまとめの上、AMEDが指定する様式の履修状況報告書を、AMED（研究公正・法務部）に電子ファイルで提出してください（押印は不要です。）。

報告対象者：平成30年度以降に開始された事業における履修対象者

提出期限：平成31年5月末日

提出書類：「研究倫理教育プログラム履修状況報告書」

（AMEDのウェブサイトより様式をダウンロードしてください。）

URL：http://www.amed.go.jp/kenkyu_kousei/

提出先・方法：kenkyuukousei" AT "amed.go.jpへ電子メールで送信してください。

" AT "の部分を@に変えてください

件名【平成30年度履修状況報告書 ▲▲】として、▲▲には研究機関等の名称を記載してください。

（６） お問合せ先

研究倫理教育プログラムに関するお問合せは、kenkyuukousei" AT "amed.go.jpへ電子メールで送信してください（" AT "の部分を@に変えてください）。

7. 利益相反の管理

（１） 対象者について

研究開発代表者及び研究開発分担者

ただし、AMEDウェブサイトの「研究公正」ページの「研究開発にあたっての利益相反管理」にある「非研究開発事業一覧」の事業は対象外となります。

（２） 利益相反審査の申出について

対象者は、研究開発課題についての各年度の契約締結前までに、利益相反委員会等に対して経済的利益関係について報告した上で、研究開発課題における利益相反の審査について申し出てください。

（３） 倫理審査及び利益相反管理の状況報告書の提出について

各研究機関等は、研究機関等に所属する研究開発代表者及び研究開発分担者について、参加している課題ごとに、倫理審査及び利益相反管理の状況報告書を作成し、研究機関等の機関長の押印を行った上で、各課題を担当する事業課宛に郵送にて提出してください（なお、各研究機関等は、委託先機関における研究開発分担者の報告書も取りまとめて提出してください）。提出期限は、各年度終了後又は委託研究開発課題の終了後 61 日以内となります。

(4) お問い合わせ先

利益相反管理に関するお問い合わせは、kenkyukousei” AT ”amed. go. jp へ電子メールで送信してください（” AT ”の部分を変えてください）。

* 詳細については、以下の AMED ウェブサイトにて確認してください。

- ・ 研究活動における利益相反の管理に関する規則
- ・ 規則 Q&A
- ・ 倫理審査状況及び利益相反管理状況報告書

http://www.amed.go.jp/kenkyu_kousei/riekisohan_kanri.html

8. 不正行為・不正使用・不正受給への対応

(1) 本事業に係る不正行為・不正使用・不正受給の報告及び調査への協力等

本事業に関し、研究機関に対して不正行為・不正使用・不正受給（以下、これらをあわせて「不正行為等」という。）に係る告発等（報道や会計検査院等の外部機関からの指摘も含む）があった場合は、「研究機関における公的研究費の管理・監査のガイドライン（実施基準）」（平成 26 年 3 月 31 日制定、平成 29 年 2 月 23 日最終改正）、「厚生労働分野の研究活動における不正行為への対応等に関するガイドライン」（平成 27 年 1 月 16 日制定、平成 29 年 2 月 23 日最終改正）、AMED の「研究活動における不正行為等への対応に関する規則」（平成 27 年 4 月 1 日制定、平成 28 年 2 月 19 日改正 及び平成 28 年 11 月 2 日改正）に則り、速やかに当該予備調査が開始したことを AMED に報告してください。

研究機関において、本調査が必要と判断された場合は、調査委員会を設置し、調査方針、調査対象及び方法等について AMED と協議しなければなりません。

この場合、AMED は、必要に応じて、本調査中の一時的措置として、被告発者等及び研究機関に対し、本事業の研究費の使用停止を命じることがありますので御留意ください。

また、研究機関は、AMED の「研究活動における不正行為等への対応に関する規則」（平成 27 年 4 月 1 日制定、平成 28 年 2 月 19 日及び平成 28 年 11 月 2 日改正）に定められた期限以内に、調査結果、不正発生要因、不正に関与した者が関わる他の競争的資金等における管理・監査体制の状況、再発防止計画等を含む最終報告書を AMED に提出してください。

なお、調査の過程であっても、不正の事実が一部でも確認された場合には、速やかに認定し、AMED に報告する必要があるほか、AMED の求めに応じ、調査の終了前であっても、調査の進捗状況報告及び調査の中間報告を AMED へ提出する必要があります。

研究機関は、調査に支障がある等、正当な事由がある場合を除き、AMED への当該事案に係る資料の提出又は AMED による閲覧、現地調査に応じなければなりませんので留意してください。

研究機関が最終報告書の提出期限を遅延した場合は、AMED は、研究機関に対し、間接経費の一定割合削減、委託研究開発費の執行停止等の措置を行う場合があります。その他、報告書に盛り込むべき事項等、詳しくは「研究機関における公的研究費の管理・監査のガイドライン（実施基準）」（平成 26 年 3 月 31 日制定、平成 29 年 2 月 23 日最終改正）、「厚生労働分野の研究活動における不正行為への対応等に関するガイドライン」（平成 27 年 1 月 16 日制定、平成 29 年 2 月 23 日最終改正）、AMED の「研究活動における不正行為等への対応に関する規則」（平成 27 年 4 月 1 日制定、平成 28 年 2 月 19 日改正 及び平成 28 年 11 月 2 日改正）を参照してください。

(2) 不正行為・不正使用・不正受給が認められた場合について

本事業において、不正行為等があった場合、「研究機関における公的研究費の管理・監査のガイドライン（実施基準）」（平成 26 年 3 月 31 日制定、平成 29 年 2 月 23 日最終改正）、「厚生労働分野の研究活動における不正行為への対応等に関するガイドライン」（平成 27 年 1 月 16 日制定、平成 29 年 2 月 23 日最終改正）、AMED の「研究活動における不正行為等への対応に関する規則」（平成 27 年 4 月 1 日制定、平成 28 年 2 月 19 日改正 及び平成 28 年 11 月 2 日改正）に基づき、研究機関及び研究者に対して、次のような措置を行います。

1) 契約の解除等

AMED は、本事業において不正行為等が認められた場合は、研究機関に対し、委託研究開発契約を解除し、委託研究開発費の全部又は一部の返還を求めます。また、次年度以降委託研究開発費を交付しないことがあります。

2) 応募及び参加の制限

本事業において不正行為等を行った研究者及びそれに関与又は責任を負うと認定された研究者等に対し、不正の程度に応じて下記の表のとおり、AMED の事業への応募及び参加の制限を行います。

【不正行為の場合】

(表 1) 認定された日以降で、その日の属する年度及び翌年度以降 1 年以上 10 年以内の間で不正行為への関与による区分を勘案して相当と認められる期間

不正行為への関与による区分		不正行為の程度	相当と認められる期間
不正行為に関与した者	1 研究の当初から不正行為を行うことを意図していた場合など、特に悪質な者		10年
	2 不正行為があった研究に係る論文等の著者	当該分野の研究の進展への影響や社会的影響が大きく、又は行為の悪質性が高いと判断されるもの	5~7年
		当該分野の研究の進展への影響や社会的影響が小さく、又は行為の悪質性が低いと判断されるもの	3~5年
	上記以外の著者		2~3年
3 1及び2を除く不正行為に関			2~3年

	与した者		
不正行為に関与していないものの、不正行為のあった研究に係る論文等の責任を負う著者（監修責任者、代表執筆者又はこれらの者と同等の責任を負うと認定された者）	当該分野の研究の進展への影響や社会的影響が大きく、又は行為の悪質性が高いと判断されるもの		2～3年
	当該分野の研究の進展への影響や社会的影響が小さく、又は行為の悪質性が低いと判断されるもの		1～2年

【不正使用・不正受給の場合】

（表2）研究費等の執行停止などを行った日以降で、その日の属する年度及び翌年度以降1年以上10年以内の間で不正使用及び不正受給の内容を勘案して相当と認められる期間

研究費等の使用の内容等	相当と認められる期間
1 研究費等の不正使用の程度が、社会への影響が小さく、かつ行為の悪質性も低いと判断されるもの	1年
2 研究費等の不正使用の程度が、社会への影響が大きく、かつ行為の悪質性も高いと判断されるもの	5年
3 1及び2以外で、社会への影響及び行為の悪質性を勘案して判断されるもの	2～4年
4 1から3にかかわらず、個人の経済的利益を得るために使用した場合	10年
5 偽りその他不正の手段により研究活動の対象課題として採択される場合	5年
6 研究費等の不正使用に直接関与していないが、善管注意義務に違反して使用を行ったと判断される場合	1～2年

（注）以下の場合には、応募申請の制限を科さず、嚴重注意を通知します。

- ・1～4において、社会への影響が小さく、行為の悪質性も低いと判断され、かつ不正使用額が少額な場合
- ・6において、社会への影響が小さく、行為の悪質性も低いと判断された研究者に対して、善管注意義務を怠った場合

また、本事業において、不正行為等が認定され、応募及び参加制限が講じられた場合、関係府省及び関係府省所管の独立行政法人が配分する競争的資金制度等の担当に情報提供することにより、関係府省の研究資金制度において、同様に、応募及び参加が制限される場合があります。

3) 他の研究資金制度で応募及び参加の制限が行われた研究者に対する制限

本事業以外の国又は独立行政法人等が所掌する、原資の全部又は一部が国費である研究資金制度において、不正行為等が認められ応募及び参加の制限が行われた研究者については、その期間中、本事業への応募及び参加資格を制限します。事業採択後に、当該研究者の本事業への応募又は参加が明らかとなった場合は、当該事業の採択を取り消すこと等があります。また委託研究開発契約締結後に、当該研究者の事業への参加が明らかとなった場合は、当該契約を解除すること等があります。

4) 他の研究資金制度で不正行為等を行った疑いがある場合について

本事業に参画している研究者が、他の研究資金制度で不正行為等を行った疑いがあるとして告発等があった場合、当該研究者の所属機関は、当該不正事案が本調査に入ったことを、AMED に報告する義務があります。

当該報告を受けて、AMED は、必要と認める場合には、委託研究開発費の使用の一時停止を指示することがありますので、留意してください。

また、当該研究者の所属機関が上記の報告する義務を怠った場合には、委託研究開発契約の解除等を行う場合があります。

5) 不正事案の公表

本事業において、上記1)及び2)の措置・制限を実施するときは、「研究機関における公的研究費の管理・監査のガイドライン（実施基準）」^{※1}（平成26年3月31日制定、平成29年2月23日最終改正）、「厚生労働分野の研究活動における不正行為への対応等に関するガイドライン」^{※2}（平成27年1月16日制定、平成29年2月23日最終改正）、AMEDの「研究活動における不正行為等への対応に関する規則」^{※3}（平成27年4月1日制定、平成28年2月19日及び平成28年11月2日改正）等に従い、当該措置の内容等を公表することがあります。

※1 「研究機関における公的研究費の管理・監査のガイドライン（実施基準）」（平成26年3月31日制定、平成29年2月23日最終改正）

<http://www.mhlw.go.jp/file/06-Seisakujouhou-10600000-Daijinkanboukouseikagakuka/0000154855.pdf>

※2 「厚生労働分野の研究活動における不正行為への対応等に関するガイドライン」（平成27年1月16日制定、平成29年2月23日最終改正）

<http://www.mhlw.go.jp/file/06-Seisakujouhou-10600000-Daijinkanboukouseikagakuka/0000152685.pdf>

※3 AMED「研究活動における不正行為等への対応に関する規則」（平成27年4月1日制定、平成28年2月19日及び平成28年11月2日改正）

<https://www.amed.go.jp/content/000003080.pdf>

(3) AMED RIO ネットワークへの加入

AMED では、2017年度にRIO ネットワーク[※]を構築しました。AMED と契約した研究機関は、研究倫理教育責任者、コンプライアンス推進責任者、及び研究不正と研究費不正に関する担当者を登録していただき、RIO ネットワーク活動に参画していただきます。

※ AMED の資金で研究開発を行っている研究機関等の研究公正責任者（RIO: Research Integrity Officer、研究倫理教育責任者及びコンプライアンス推進責任者）とその担当者のネットワーク。

http://www.amed.go.jp/kenkyu_kousei/rionetwork.html

9. 採択後契約締結までの留意点

(1) 採択の取消し等について

本課題採択後において、AMED が指示する提出物の提出期限を守らない場合、当該研究に参加する研究者につき一定期間応募・参加制限がされた場合、不正行為等に関する本調査が開始された場合等は、採択の取消し等を行うことがあります。

(2) 調査対象者・不正行為認定を受けた研究者について

AMED は、委託研究開発契約の締結にあたって、研究機関に対し、次の (a) から (c) について表明保証していただきますので、御留意ください。

- (a) 研究機関において、研究開発計画書において研究開発の責任者として「研究開発代表者」又はこれに相当する肩書きを付与された者及び研究開発代表者と研究項目を分担する者として「研究開発分担者」又はこれに相当する肩書きを付与された者が、国の不正行為等対応ガイドライン※（機構の不正行為等対応規則に基づく場合を含む）に基づいて、不正行為等を行ったとして研究機関等による認定を受けた者（但し、研究機関等による認定に基づき、国又は独立行政法人等により、競争的資金等への申請・参加制限を課さないものとされた者及び国又は独立行政法人等により課された競争的資金等への申請・参加制限の期間が終了した者は除く。）ではないこと
- (b) 研究機関において、国の不正行為等対応ガイドライン※（機構の不正行為等対応規則に基づく場合を含む）に基づく本調査（以下「本調査」という。）の対象となっている者が研究開発計画書における研究開発代表者及び研究開発分担者に含まれている場合には、当該対象者について、委託研究開発契約締結日前までに AMED に通知済みであること及び当該対象者の取扱いにつき AMED の了解を得ていること
- (c) 研究機関において、国の不正行為等対応ガイドライン※に定められた研究機関の体制整備として研究機関に実施が要請されている各事項につき、遵守し実施していること

※平成 27 年 4 月 1 日制定、平成 28 年 2 月 19 日及び平成 28 年 11 月 2 日改正

（注）AMED と委託研究開発契約を締結している研究機関が第三者と委託契約を締結（AMED からみると、再委託契約に当たります。）している場合には、当該研究機関は、再委託先に所属する研究者のうち「研究開発分担者」（これに相当する肩書きを付与された者も含む）についても、表明保証の対象となりますので、留意してください。

(3) 研究開発計画書及び報告書の提出について

採択課題については、研究開発計画書及び報告書の一部について英語での提出を依頼することがありますので、あらかじめ留意してください。

(4) 研究資金の不合理な重複及び過度の集中の排除について

(a) 不合理な重複に対する措置

研究者が、同一の研究者による同一の研究課題（研究開発資金等が配分される研究の名称及びその内容をいう。）に対して、国又は独立行政法人の複数の競争的資金が不必要に重ねて配分される状態であって次のいずれかに該当する場合、本事業において審査対象からの除外、採択の決定の取消し、又は経費の削減（以下、「採択の決定の取消し等」という。）を行うことがあります。

- 1) 実質的に同一（相当程度重なる場合を含む。以下同じ）の研究課題について、複数の競争的資金に対して同時に応募があり、重複して採択された場合

- 2) 既に採択され配分済の競争的資金と実質的に同一の研究課題について、重ねて応募があった場合
- 3) 複数の研究課題の間で、研究費の用途について重複がある場合
- 4) その他これに準ずる場合

なお、本事業への応募段階において、他の競争的資金制度等への応募を制限するものではありませんが、他の競争的資金制度等に採択された場合には速やかに AMED の本事業担当に報告してください。この報告に漏れがあった場合、本事業において、採択の決定の取消し等を行う可能性があります。

(b) 過度の集中に対する措置

本事業に提案された研究内容と、他の競争的資金制度等を活用して実施している研究内容が異なる場合においても、当該研究者又は研究グループ（以下、本項では、これらを「研究者等」という。）に当該年度に配分される研究費全体が効果的・効率的に使用できる限度を超え、その研究期間内で使い切れない程の状態であって、次のいずれかに該当する場合には、本事業において、採択の決定の取消し等を行うことがあります。

- 1) 研究者等の能力や研究方法等に照らして、過大な研究費が配分されている場合
- 2) 当該研究開発課題に配分されるエフォート（研究者の全仕事時間※に対する当該研究の実施に必要とする時間の配分割合（%））に比べ過大な研究費が配分されている場合
- 3) 不必要に高額な研究設備の購入等を行う場合
- 4) その他これに準ずる場合

※ 総合科学技術・イノベーション会議におけるエフォートの定義「研究者の年間の全仕事時間を 100%とした場合、そのうち当該研究の実施に必要となる時間の配分率（%）」に基づきます。なお、研究者の全仕事時間とは、研究活動の時間のみを指すのではなく、教育・医療活動中や管理業務等を含めた実質的な全仕事時間を指します。

このため、本事業への応募書類の提出後に、他の競争的資金制度等に応募し採択された場合等、記載内容に変更が生じた場合は、速やかに AMED 担当課室に報告してください。この報告に漏れがあった場合、本事業において、採択の決定の取消し等を行う可能性があります。

(c) 不合理な重複・過度の集中排除のための、応募内容に関する情報提供

不合理な重複・過度の集中を排除するために、必要な範囲内で、応募（又は採択課題・事業）内容の一部に関する情報を、府省共通研究開発管理システム（e-Rad）などを通じて、他府省を含む他の競争的資金制度等の担当に情報提供する場合があります。また、他の競争的資金制度等におけるこれらの確認を行うため求められた際に、同様に情報提供を行う場合があります。

(d) 他府省を含む他の競争的資金等の応募受入状況

提案書類に、他府省を含む他の競争的資金等の受入状況（制度名、研究課題名、実施期間、予算額、エフォート等）を記載していただく場合があります。記載内容について、事実と異なる記載をした場合は、研究開発課題の不採択、採択取消し又は減額配分とすることがあります。

VII. 採択課題の管理と評価

1. 課題管理

全ての採択課題について、毎年度、委託研究開発成果報告書の提出を求めます。また、PS・P0等が進捗管理を綿密に行います。その際、研究開発課題を提案する前提となる重要な研究データ（実験含む）については、委託開発研究の契約以前に実施されたものであっても、委託開発研究に対する進捗管理の観点で確認をすることがあります。各研究は「医薬品の臨床試験の実施の基準に関する省令（平成9年厚生省令第28号）」や「医薬品の安全性に関する非臨床試験の実施の基準に関する省令（平成9年厚生労働省令第21号）」、「厚生労働省の所管する実施機関における動物実験等の実施に関する基本指針（平成18年6月1日付厚生労働省大臣官房厚生科学課長通知）」等、実施する研究に適応される法令又は指針を遵守して実施し、進捗管理の際に事実検証が可能な形で提示できるよう適切に記録を作成し保管ください。進捗管理に当たっては、報告会の開催や、調査票（研究の進捗状況を記入する書類）、ヒアリング（個別課題ごとの面談）、サイトビジット（研究実施場所における実際の研究状況の確認）等を通じて出口戦略の実現を図ってまいりますので御対応ください。なお、進捗状況に応じて、計画の見直しや課題の中止（早期終了）等を求めることがあります。

加えて、実用化段階に移行する研究開発課題（PMDAが実施するRS戦略相談の対象範囲となる研究開発課題）においては、その採択条件として、原則採択後1~2年目[※]に対面助言を受けていただくことになります。更に研究開発期間中、適切な情報管理のもと、RS戦略相談における各種面談にAMEDが同席することを承諾し、対面助言の記録及びこれに関連する情報をAMEDに共有していただきます。

※治験を対象とした研究開発課題については、治験開始前までに実施を求めます。一方、採択前に対面助言を実施済みの研究開発課題については、研究開発期間中に必要に応じて再度受けることで差し支えありません。

研究開発期間中、革新的な医薬品や医療機器の創出を念頭に置いた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こととなった研究では、実施する実験、研究に関する臨床試験又は非臨床試験プロトコール（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、研究体制等の当該実験又は研究を実施するために必要な情報を含む）等の資料を提出していただきます。

※ 新しい医薬品や医療機器の創出を目的としていない研究や新しい医療技術の評価、通常の承認プロセスと異なるものは対象外とします。

2. 評価

本事業では、採択課題のうち5年以上の研究開発期間を予定しているものについて、研究開発開始後3年程度を目安として課題評価委員会による中間評価を実施し、研究開発計画の達成度や研究開発成果等を厳格に評価します。5年未満の研究開発期間を予定しているものについては、原則実施しないものですが、事業等の推進にあたって中間評価が必要とされた場合には、課題評価委員会による中間評価が実施されます。

また本事業では、PSが必要と認める課題については時期を問わず、中間評価を実施することがあります。評価結果によっては、PSの総合的な判断によりAMEDが課題の中止（早期終了）や延長等を決定することがあります。

また全ての採択課題について、課題終了前後の適切な時期に事後評価を実施します。更に、必要に応じて、課題終了後一定の時間を経過した後に追跡評価を実施することがあります。

3. 成果報告会等での発表

本事業の成果報告の一環として、採択課題の研究開発代表者等に対して、AMED が主催する公開又は非公開の成果報告会等での発表を求めることがあります。また、追跡調査や成果展開調査の一環として、必要に応じて課題終了翌年度以降においても発表を依頼することがありますので、御協力をお願いします。

VIII. 研究開発成果の取扱い

研究開発成果の取扱いについては、委託研究開発契約に基づき、知的財産権や成果利用に関する事項を遵守することが義務付けられています。

1. 研究開発成果報告書の提出と公表

受託者は、研究成果を取りまとめた研究開発成果報告書を提出していただきます。提出期限は委託研究開発実施期間の終了、委託研究開発の完了・中止・廃止のいずれか早い日から起算して 61 日以内ですので注意してください。なお、期限までに研究開発成果報告書の提出がなされない場合、委託研究開発契約が履行されなかったこととなり、委託研究開発費の支払い等が行えなくなるため、提出期限は厳守してください。

また、成果報告書における一部の項目及び総括研究報告の内容は、公開情報となります。適切な時期に AMED ウェブサイトにて公開しますので、特許出願中の内容であって特許公報等が発行されていないもの、ノウハウ等営業秘密、その他未公開情報については、記載しないでください。

2. 研究開発成果の帰属

研究を実施することにより取得した特許権や著作権等の知的財産権については、産業技術力強化法（平成 12 年法律第 44 号）における日本版バイ・ドール規定に基づく一定の要件の下で受託者に帰属させることができます。日本版バイ・ドール規定の目的は、知的財産権の受託者帰属を通じて研究開発活動を活性化し、その成果を事業活動において効率的に活用することにあります。本事業においては、受託者自身が成果の実用化に最大限取り組むことを期待し、この日本版バイ・ドール規定を適用しています。要件の詳細については契約時に定める契約条項によることとします。

受託者におかれましては、国の委託研究開発の成果に係る知的財産権を保有するに当たり、自らが研究開発の成果の実用化に最大限取り組むべき立場にあり、実用化の実現が期待されていることを強く意識し、これに向けて取り組んでください。特に、AMED 知的財産ポリシー[※]に則り、知的財産権をグローバルで適切に保護し活用するため、知的財産権の取得に当たり、間接経費を充当する等、受託者の財源の中で適切な措置がなされるようにしてください。

AMED 知的財産部では、受託者に帰属した研究開発成果の最大化及び実用化に向けて、一貫した支援を行っています。AMED 知的財産部による支援には、成果の知財化における強化支援、企業連携戦略等の助言、企業への導出・ライセンス化活動の支援、等があります。

※ http://www.amed.go.jp/chitekizaisan/chizai_policy.html

3. 研究成果の実用化に向けた措置

受託者におかれましては、AMED の委託研究開発の成果について、国民に還元すべく、社会実装・実用化に最大限取り組むべき立場にあることを強く意識し、これに向けた必要な措置を行ってください。特に、研究成果に係る発明、ノウハウ、データ等の知的財産について最大限活用すると共に、AMED 知的財産ポリシー[※]に則り、特許権等の知的財産権をグローバルで適切に保護し活用するため、知的財産権の取得に当たり、間接経費を充当する等、受託者の財源の中で適切な措置がなされるようにしてください。

なお、AMED 知的財産部では、受託者に帰属した研究開発成果の最大化及び実用化に向けて、一貫した支援を行っていますので、Medical IP Deskにご相談ください（詳細はX. 章 7. 節を参照してください）。

※ http://www.amed.go.jp/chitekizaisan/chizai_policy.html

4. 医療研究者等向け知財教材

受託者に帰属した研究開発成果の出願戦略、権利化戦略、活用戦略等を検討する上で参考となる医療研究者等向け知財教材を AMED ウェブサイト※で公開しています。研究を実施する前に、研究者等が知財教材を閲覧することを強く推奨しています。

※ http://www.amed.go.jp/chitekizaisan/chizai_kyouzai.html

5. 研究開発成果のオープンアクセスの確保

受託者は、必要な知的財産等の確保をした上で、可能な限り研究成果のオープンアクセスを確保するよう努めてください。

IX. 取得物品の取扱い

1. 所有権

大学等^{※1}が直接経費により取得した物品等（以下「取得物品」という。）の所有権は、大学等に帰属するものとします。

企業等^{※2}の取得物品の所有権は、取得価格が50万円以上（消費税含む。）かつ耐用年数が1年以上のものについてはAMEDに帰属するものとしますが、当該取得物品は委託研究開発期間終了までの間、委託研究開発のために無償で使用することができます。当該取得物品については、受託者が善良なる管理者の注意をもって適正に管理してください。

※1 「大学等」とは、以下に掲げる研究機関を総称したものをいいます。

- ア 国立大学法人、公立大学、私立大学等の学校法人
- イ 国立研究機関、公設試験研究機関、独立行政法人等の公的研究機関
- ウ 公益法人等の公的性格を有する機関であって、AMEDが認めるもの

※2 「企業等」とは、「大学等」及び「国の施設等機関等」以外の研究機関を総称したものをいいます。

2. 研究開発期間終了後の取扱い

企業等に対しては、引き続き当該研究開発の応用等の目的に使用されることを前提に、平成27年度以降に取得され、所有権がAMEDに帰属する所得物品のうち有形固定資産は、原則として耐用年数期間は無償貸与し、耐用年数経過後に有償で譲渡することとします。ただしいずれも、AMEDが当該取得物品を使用し又は処分する場合はこの限りではありません。※

消耗品扱いとなる取得物品については、特に貸借契約等の手続を行いませんが、その使用が終了するまでは、善良なる管理者の注意をもって適正に管理してください。（転売して利益を得ることは認められません。）

※ 上記取扱いを原則としますが、変更が生じる場合があります。研究開発終了時の賃貸借契約、売買契約、譲渡手続きの時点であらためて御案内させていただきます。

3. 放射性廃棄物等の処分

汚染資産等及び委託研究開発の実施により発生した放射性廃棄物は、受託者の責任において処分してください。

X. その他

1. 国民との双方向コミュニケーション活動

総合科学技術会議（現：総合科学技術・イノベーション会議）では、「国民との科学・技術対話」の推進について（基本的取組方針）（平成 22 年 6 月 19 日科学技術政策担当大臣及び有識者議員決定）により、科学技術の優れた成果を絶え間なく創出し、我が国の科学技術をより一層発展させるためには、科学技術の成果を国民に還元するとともに、国民の理解と支持を得て、共に科学技術を推進していく姿勢が不可欠であるとされています。また、これに加えて、第 5 期科学技術基本計画（平成 28 年 1 月 22 日閣議決定）においては、科学技術と社会とを相対するものとして位置づける従来型の関係を、研究者、国民、メディア、産業界、政策形成者といった様々なステークホルダーによる対話・協働、すなわち「共創」を推進するための関係に深化させることが求められています。これらの観点から、研究活動の内容や成果を社会・国民に対して分かりやすく説明する取組や多様なステークホルダー間の対話・協働を推進するための取組が求められています。このことを踏まえ、研究成果に関する市民講座、シンポジウム及びインターネット上での研究成果の継続的配信、多様なステークホルダーを巻き込んだ円卓会議等の本活動について、積極的に取り組むようお願いいたします。

（参考）「国民との科学・技術対話」の推進について（基本的取組方針）

<http://www8.cao.go.jp/cstp/output/20100619taiwa.pdf>

2. 健康危険情報

AMED では、厚生労働省からの依頼に基づき、研究者が研究の過程で国民の生命、健康に重大な影響を及ぼす情報（以下「健康危険情報」という。）を得た場合には、所定の様式^{※1}にて厚生労働省への通報をお願いしています。連絡先等詳細については、AMED「委託研究開発契約事務処理説明書」^{※2}を参照してください。

なお、提供いただいた健康危険情報については、厚生労働省において他の情報も併せて評価した上で必要な対応を検討するものであり、情報提供に伴う責任が研究者に生じるものではありませんので、幅広く提供いただくようお願いいたします。

※1 <http://www.mhlw.go.jp/file/06-Seisakujouhou-10600000-Daijinkanboukouseikagakuka/kenkoukiken.doc>

※2 http://www.amed.go.jp/keiri/youshiki_itaku.html

3. 政府研究開発データベース入力のための情報

委託研究開発費により行う研究については、府省横断的なデータベースである政府研究開発データベース（内閣府総合科学技術・イノベーション会議事務局）への入力対象となります。以下の情報については、e-Rad を通じて、政府研究開発データベースに提供されます。

（1）研究者番号（8 桁）

e-Rad により研究者に一意に付与される研究者固有の番号（8 桁）を「研究者番号」と呼びます。本システムで、対象とする制度・事業について、研究課題名、研究者名、研究期間、配分額等の基本情報を取り扱うに当たって、研究者に対して「研究番号」を発行し研究者の一意性を確保します。

(注) 従来の「研究者 ID」とは異なりますので御留意ください。

(2) エフォート

「研究開発代表者」等は、研究者が当該研究の実施に必要とする時間が年間の全勤務時間（正規の勤務時間以外の勤務時間を含む。）に占める割合を百分率で表した数値（1未満の端数があるときは、これを四捨五入して得た数値）（いわゆるエフォート）を記入してください。また、このエフォートについては、各研究者が当該研究について何%ずつ分担するのかを問うものではありませんので、誤解のないようお願いいたします。

$$\text{研究者 A のエフォート率 (\%)} = \frac{\text{研究者 A が当該研究の実施に必要とする時間}}{\text{研究者 A の年間の全勤務時間}} \times 100$$

(3) 「研究分野 細目・キーワード一覧」による研究分野

主たる研究分野（研究分野（主））と関連する研究分野（研究分野（副））について、「研究分野 細目・キーワード一覧」より選択し、系、分野、分科、細目番号、細目名を記入するとともに、当該研究の内容に即したキーワードについて「研究分野 細目・キーワード一覧」より選び、キーワード番号、キーワードを記入願います。（最低1つ、最大5つ）

キーワードの記入に際して、「研究分野 細目・キーワード一覧」より最低1つ選択する必要がありますが、「研究分野 細目・キーワード一覧」にないキーワードを記載する際は、「その他キーワード」欄に50文字以内で2つまで記入することができます。そのため、最大で合計7つのキーワードまで記入することが可能です

(4) 研究開発の性格

当該研究については、基礎研究、応用研究、開発研究のいずれに当たるかを記入願います。

4. 研究者情報の researchmap[※]への登録

researchmap は日本の研究者総覧として国内最大級の研究者情報データベースで、登録した業績情報はインターネットを通して公開することもできます。また、researchmap は e-Rad や多くの大学の教員データベースとも連携しており、登録した情報を他のシステムでも利用することができるため、研究者の方が様々な申請書やデータベースに何度も同じ業績を登録する必要がなくなります。researchmap で登録された情報は、国等の学術・科学技術政策立案の調査や統計利用目的でも有効活用されていますので、本事業実施者は researchmap に登録くださるようご協力をお願いします。

※ <http://researchmap.jp/>

5. リサーチツール特許の使用の円滑化

リサーチツール特許については、「ライフサイエンス分野におけるリサーチツール特許の使用の円滑化に関する指針」（平成19年3月1日総合科学技術会議（現：総合科学技術・イノベーション会議））に基づき、適切に取り扱うよう努めてください。

6. 知的財産推進計画に係る対応

「知的財産推進計画」は、知的財産基本法（平成 14 年法律第 122 号）に基づき、知的財産戦略を強力に推進するために、知的財産戦略本部により毎年策定されている計画です。知的財産推進計画 2014（平成 26 年 7 月 4 日知的財産戦略本部）※¹においては、国際標準化活動を更に活性化するために、認証の戦略的活用を促進することとされており、AMED においても、国際標準化・認証を視野に入れた研究開発の促進に取り組むこととされています。

このため、委託研究開発費において、国際標準化・認証に結びつく可能性のある研究を実施する場合には、個別の研究開発計画において、認証に向けた基準策定を盛り込む、研究開発活動に認証機関を参画させる、公的研究機関においては、認証業務の立ち上げの際はその支援を検討するなど、国際標準化を視野に入れた研究開発に取り組むよう、よろしくをお願いします。

※ 1 知的財産推進計画 2014（抜粋）

<http://www.kantei.go.jp/jp/singi/titeki2/kettei/chizaikeikaku20140704.pdf>

第 1. 産業競争力強化のためのグローバル知財システムの構築

4. 国際標準化・認証への取組

(2) 今後取り組むべき施策

(特定戦略分野※²における国際標準化戦略の推進)

・ 特定戦略分野（市場の規模・成長性、分野の広がり、我が国の優位性、国際標準化の意義といった事項を踏まえて選定）における国際標準化戦略について、国際的な議論を主導するとともに、関係者による自律的な取組を推進する。（短期・中期）（内閣官房、内閣府、総務省、文部科学省、厚生労働省、農林水産省、経済産業省、国土交通省、環境省）

※ 2 特定戦略分野・・・先端医療、水、次世代自動車、鉄道、エネルギーマネジメント、コンテンツメディア及びロボット

7. AMED 知的財産コンサルタント及び AMED 知財リエゾンによる知的コンサルテーション支援

AMED では、AMED が実施する事業で得られた研究成果の実用化を促進するために、知的財産戦略や導出戦略について、AMED 知的財産コンサルタントによる知財コンサルテーションを無料で実施しています。また、当該知財コンサルテーションの一環として、希望に応じて、得られた研究成果の的確な知財戦略策定のために、外部調査機関による①先行文献調査、②市場調査、③成果応用調査を行った結果を無料で提供しています。

さらに、全国各地の研究機関に AMED 知財リエゾンが直接出向き、AMED 知的財産コンサルタントと連携しつつ、得られた研究成果に対し、導出に向けた早期にコンサルテーションを可能とする体制を構築しています。AMED 知財リエゾン※¹は、具体的に、①研究開発の早期における適切な導出を目指した知財戦略アドバイス、②先行文献調査、市場調査、技術シーズの評価支援、③展示会・商談会等における適切な研究成果 PR シートの作成指導、等を行います。

上記支援等を希望される方は、Medical IP Desk（医療分野の知的財産相談窓口）にお問い合わせください。Medical IP Desk については下記ウェブサイト※²を参照してください。

※ 1 AMED 知財リエゾン：http://www.amed.go.jp/chitekizaisan/chizai_riezon.html

※ 2 Medical IP Desk：http://www.amed.go.jp/chitekizaisan/medical_ip_desk.html

8. シーズ・ニーズのマッチング支援システム

医療分野の研究開発成果の早期実用化に向けて、大学等アカデミア発の研究シーズ情報と企業ニーズ情報を早期段階でのマッチングを支援するための非公開情報ネットワークシステムを構築中であり、2018年4月より利用できるようになります。優れた研究シーズを複数企業の導入担当者にアピールでき、早期段階で企業との連携を図ることができますので、医療分野の研究シーズを当該システムへの積極的にご登録ください。

9. 創薬支援ネットワーク及び創薬支援戦略部による支援

AMED では、大学等の優れた基礎研究の成果を医薬品として実用化につなげるため、AMED 創薬支援戦略部（以下「創薬支援戦略部」という。）が本部機能を担い、特定国立研究開発法人理化学研究所、国立研究開発法人医薬基盤・健康・栄養研究所、特定国立研究開発法人産業技術総合研究所等で構成するオールジャパンでの創薬支援連携体制「創薬支援ネットワーク」を構築し、主に応用研究から前臨床開発段階までの創薬研究に対して切れ目のない実用化支援を行い、企業導出等に取り組んでいます。

具体的には、創薬支援戦略部が実施する事業の一環として創薬研究に取り組む研究者からの相談を幅広く受け付けるとともに、有望シーズの情報収集・調査及び評価、個別シーズの知財戦略及び製薬企業への導出に向けた出口戦略を含む研究開発計画の策定や、応用研究（探索研究、最適化研究等）、非臨床試験（GLP 準拠）等における技術的支援、CRO（医薬品開発業務受託機関）や CMO（医薬品製造業務受託機関）等の紹介・委託支援、製薬企業への導出等の業務を行っています。

このように、創薬支援戦略部は、創薬研究を行う大学等の研究者に対して、実用化に関する技術的課題の助言や、製薬企業への導出に向けた研究開発戦略の策定支援等を専門に行う部門です。このため、AMED 事業のうち医薬品開発に係る研究開発課題については、事業担当課室と調整の上、創薬支援戦略部による支援を積極的に行うことがあります。

つきましては、医薬品開発に係る応募研究開発課題については、その採否に関わらず、創薬支援戦略部に情報提供を行います（詳細は V. 章 1. 節を参照してください）。なお、創薬支援戦略部は研究者に帰属する知的財産等の保全及び守秘を前提として、研究者の要請に基づいて上記の支援を行います。

同様に、医薬品開発に係る応募研究開発課題のうち、創薬支援戦略部で支援を行っている、もしくは、行っていた課題についても、その支援内容等を事業担当課室に情報提供を行います。

創薬支援ネットワーク及び創薬支援戦略部による支援に関する照会先は、XI. 章を参照してください。

10. AMED における課題評価の充実

AMED においては、課題評価委員会を充実し、より適切な課題評価を実施することを目指し、専門領域について高度な知見を有する委員の確保、年齢・性別・所属機関等の観点からの委員の多様性への配慮に取り組んでいます。

このため、課題が採択された場合等には、AMED の課題評価委員等としての御協力をお願いすることがあります。

11. 各種データベースへの協力について

(1) バイオサイエンスデータベースセンターへの協力

国立研究開発法人科学技術振興機構バイオサイエンスデータベースセンター（NBDC）※¹では、国内の生命科学分野の研究者が生み出したデータセットを丸ごとダウンロードできる「生命科学系データベースア

アーカイブ」^{※2}を提供しています。また、ヒトゲノム等のヒト由来試料から産生された様々なデータを共有するためのプラットフォーム「NBDC ヒトデータベース」^{※3}では、ヒトに関するデータを提供しています。

生命科学分野の皆様の研究成果データが広く長く活用されるために、NBDC の「生命科学系データベースアーカイブ」や「NBDC ヒトデータベース」へデータを提供くださるよう御協力をお願いします。

※1 バイオサイエンスデータベースセンター (NBDC) (<http://biosciencedbc.jp/>) では、我が国の生命科学系データベースを統合して使いやすくするための研究開発やサービス提供を行っています。研究データが広く共有・活用されることによって、研究や開発が活性化されることを目指しています。

※2 生命科学系データベースアーカイブ
<http://dbarchive.biosciencedbc.jp/>

※3 NBDC ヒトデータベース
<http://humandbs.biosciencedbc.jp/>

「生命科学系データベースアーカイブ」や「NBDC ヒトデータベース」に関する問い合わせ先は、XI. 章を参照してください。

(2) 開発したリソースのナショナルバイオリソースプロジェクト (NBRP) ^{※1}への寄託

本事業の実施者は、ライフサイエンス分野における研究に資するよう、本事業において開発したバイオリソースを使用し、得られた研究成果を論文等で公表した後は、NBRP の中核的拠点整備プログラム実施機関へ当該バイオリソースを寄託^{※2} (ただし、NBRP で対象としているバイオリソースに限る。) し、広く研究者の利用に供することを原則とします。

※1 NBRP : <https://www.amed.go.jp/en/program/list/04/01/002.html>

※2 寄託 : 当該リソースに関する諸権利は移転せずに、リソース事業 (保存・提供) への利用を認めていただく手続です。寄託同意書の中で提供条件について定めおくことで、当該リソースの提供を受ける利用者に対して、用途の制限や論文引用等使用条件を付加することができます。

(3) その他

検体保存やゲノム解析については、既存の研究基盤の利用を積極的に行うことが求められ、AMED が最適な研究基盤に誘導・マッチングを提案する場合もあります。これらへの対応を含め、AMED が指定する各種データベースへのデータ提供を依頼する際は、御協力いただけますようお願いいたします。

1.2. 臨床研究法施行に係る対応

今後の省令・通知等をふまえ、AMED のウェブサイト等でお知らせをするので必要な対応をお願いします。

※ 法施行前から継続して実施している臨床研究については、施行後の経過措置期間内に法に基づいた手続を行う必要があります。

XI. 照会先

本公募要領の記載内容について疑問点等が生じた場合には、次表に示す連絡先に照会してください※^{1、2}。また、情報の更新がある場合は AMED ウェブサイトの公募情報※³に掲載しますので、併せて参照してください。

※¹ お問い合わせはなるべく電子メールでお願いいたします（下記アドレス“AT”の部分を変えてください）。

※² 電話番号のお掛け間違いに御注意ください。電話受付時間は、特記なき場合、平日 10:00～12:00 及び 13:00～17:00 です。

※³ <http://www.amed.go.jp/koubo/>

照会内容	連絡先
公募研究開発課題、評価、提案書類の記載方法等	AMED 戦略推進部 難病研究課 Tel: 03-6870-2223 E-mail: rare-koubo “AT” amed.go.jp 研究分野【IRUD】について → irud “AT” amed.go.jp
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）の確認	厚生労働省 健康局 難病対策課 お電話の前にまず、XI. 章記載のウェブサイトを御確認ください。 →その上で、 Tel: 03-5253-1111（内線 2367）
不正行為・不正使用 ・不正受給	AMED 研究公正・法務部 E-mail: kouseisoudan “AT” amed.go.jp
利益相反管理、研究倫理教育プログラム	AMED 研究公正・法務部 E-mail: kenkyuukousei “AT” amed.go.jp
創薬支援ネットワーク及び創薬支援戦略部による支援	AMED 創薬支援戦略部 東日本統括部 〒103-0022 東京都中央区日本橋室町一丁目 5 番 5 号 室町ちばぎん三井ビルディング 8 階 Tel: 03-3516-6181 E-mail: id3navi “AT” amed.go.jp
e-Rad システムの操作方法	e-Rad ポータルサイトヘルプデスク お電話の前に、よくある質問と答え（FAQ）ページを御確認ください： https://www.e-rad.go.jp/contact/ →その上で、e-Rad にログインし、操作マニュアルを確認できる状態で： Tel: 0570-066-877（ナビダイヤル）、 利用できない場合は 03-6631-0622（直通） 受付時間 9:00～18:00（平日） ※土曜日、日曜日、国民の祝日及び年末年始（12月29日～1月3日）を除く
バイオサイエンスデータベース	国立研究開発法人科学技術振興機構（JST） バイオサイエンスデータベースセンター

生命科学系データベースアーカイブ	E-mail: dbarchive "AT" biosciencedbc.jp http://dbarchive.biosciencedbc.jp/
バイオサイエンスデータベース NBDC ヒトデータベース	国立研究開発法人科学技術振興機構 (JST) バイオサイエンスデータベースセンター E-mail: humandbs "AT" biosciencedbc.jp http://humandbs.biosciencedbc.jp/
AMED の知的財産ポリシー及び委託研究開発における知的財産の取扱い	AMED 知的財産部 Tel: 03-6870-2237 E-mail: medicalip "AT" amed.go.jp

XII. 公募研究開発課題

公募研究開発課題は以下のとおりです。本事業全体の概要等については I. 章を、公募・選考の実施方法については IV. 章を、それぞれ参照してください。

1. 希少難治性疾患の克服に結びつく病態解明研究

(1) 研究開発課題名

公募研究開発課題 1-1.

若手研究開発代表者による希少難治性疾患の独創的な病態解明研究

公募研究開発課題 1-2.

希少難治性疾患の病態解明研究

(2) 公募の背景と目標

希少難治性疾患の克服のためには、医薬品等の実用化に近い研究だけでなく基礎的な学術研究をも推進し、生み出された知見を大きく発展させてイノベーションにつなげることも重要である。

そこで本公募研究開発課題では、希少難治性疾患の克服の為に疾患発生のメカニズムや分子病態の解明等の発見を目的とする研究提案を募集することとし、「若手研究開発代表者による希少難治性疾患の独創的な病態解明研究」については、独自の着想から新たな手法や新しい切り口での研究に焦点をあてる。

最終的な臨床応用を目指し、希少難治性疾患の病態の解明に繋がる画期的な発見、又は治療法や診断法の開発に資する知見の創出に至ることを目標とする。特に「希少難治性疾患の病態解明研究」については、原則として研究開発期間終了時まで、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。

尚、「若手研究開発代表者による希少難治性疾患の独創的な病態解明研究」では、若手研究者が研究開発代表者として研究を推進する課題を対象とする。次世代育成は公的研究費を支出する事業共通の意義にも叶うものである。これにより 10 年後 20 年後の更なる医療の発展の礎とする為の研究開発の支援及び次世代研究者の育成を行い、育てられた人材を通じて研究成果を社会へ還元する。現状を打破する発端と為り得る、若手研究者ならではの斬新なアイデアを基にした研究課題の提案を公募する。

(3) 求められる成果

臨床応用される事を目的とした疾患発生のメカニズムや分子病態の解明等に関する画期的な発見を示す資料（特許出願及び原著論文と、原著論文のリファレンス数）

「希少難治性疾患の病態解明研究」については、画期的発見が研究期間終了後に本事業の「画期的な医薬品医療機器等の実用化に関する研究」※¹又は「診療に直結するエビデンス創出研究」※²につながるものであること。

※¹詳細については本章 2. 「画期的な医薬品医療機器等の実用化に関する研究」を参照の事

※²詳細については本章 3. 「診療に直結するエビデンス創出研究」を参照の事

(4) 研究開発費の規模等

#	分野等、公募研究開発課題名	研究開発費の規模	研究開発予定期間	採択予定数
1-1	若手研究開発代表者による希少難治性疾患の 独創的な病態解明研究 * 若手研究者が研究開発代表者となる課題を 対象とする。	1 課題あたり年間 8,000 千円程度 (間接経費を含まず)	最長 3 年 2018 年度～ 2020 年度	0～10 課題 程度
1-2	希少難治性疾患の病態解明研究	1 課題あたり年間 12,000 千円程度程度 (間接経費を含まず)	最長 3 年 2018 年度～ 2020 年度	0～5 課題 程度

(5) 採択条件

1-1 若手研究開発代表者による希少難治性疾患の独創的な病態解明研究

- (a) 独自の着想による独創的な研究計画であり、特定の疾患や疾患群において、疾患発生メカニズムや分子病態解明等を目的とする提案であること。
- (b) 見出された成果が、今後、臨床応用される事を目的とした課題であること
- (c) 研究開発代表者が主体的に研究を実施する課題であり、研究開始日から必要なエフォートを確保できること。
- (d) 研究開発代表者は平成 30 年 4 月 1 日時点において、年齢が、男性の場合は満 40 歳未満者（昭和 53 年 4 月 2 日以降に生まれた者）女性の場合は満 43 歳未満の者（昭和 50 年 4 月 2 日以降に生まれた者）、又は博士号取得後 8 年未満の者。ただし、産前・産後休業又は育児休業をとった者は、満 40 歳未満又は満 43 歳未満の制限に、その日数を加算することができる。

1-2 希少難治性疾患の病態解明研究

- (a) 特定の疾患や疾患群において、疾患発生メカニズムや分子病態解明等を目的とする提案であること。
- (b) 臨床応用される事を目的とし、研究期間終了時には本事業の「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」に繋がる研究開発であること

(6) 留意事項

(a) 採択課題の管理について

採択課題に対しては、研究計画の質的向上や研究者の能力向上を目的に、PS・P0 等による進捗管理を行う。詳細は採択された研究開発代表者に別途通知する。

- ・公募課題 1-1 においては PS・P0 等による重点的な進捗管理を行います。

(b) 研究開発提案書作成時の留意点について

- 1) 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、また、研究計画の目的、コンセプトの独創性を明確に記載すること。また成果達成の可能性、期待される成果等を含む研究のハイライトを記載すること。
 - 2) 研究開発提案書内には、短期的な目標とともに、最終的に臨床応用されることを考慮に入れて、実現可能性が高いと考えられる長期的なロードマップを作成する。当該研究疾患が治療法や診断法開発においてどのような段階にあって、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。
 - 3) 本研究開発期間以降の長期的な目標について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。
 - 4) 「希少難治性疾患の病態解明研究」については、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」のどちらにつながる成果が得られる計画であるか明示すること。
 - 5) 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。
 - 6) 体制図として、研究開発代表者、研究開発分担者、協力企業（存在する場合）、主な外部委託先（CRO 等）等の役割を明示すること。また、連携する厚生労働省政策研究班や関連学会がある場合には、その連携の内容を具体的に明示すること。
 - 7) 研究協力体制として生物統計家[※]、知財担当者の関与を明確にすること。
- ※ 責任試験統計家（日本計量生物学会）等の試験統計家の認定資格を有する又は統計検定（日本統計学会公認）等の資格を有したうえで臨床試験統計家としての実績（例えば5試験以上等）があることが好ましい。
- 8) 知的財産について記載の必要がある際には、知財担当者と相談の上、本研究開発に関連する特許権等知的財産権の取得及び申請状況等について詳細を記載すること。
 - 9) 遵守すべき研究に係る指針等を明示し、本研究開発期間中に予定される臨床研究の内容を具体的に記載すること。また、中央倫理審査委員会等で審査をする場合（予定を含む）は、当該委員会設置機関名を明記すること。

(c) 研究提案について

本公募研究開発課題については、研究開発代表者は 1-1、1-2 のいずれか一方しか応募することができません。

(d) その他留意事項について

1) レジストリを構築する場合は、今後 AMED が指定するデータベース等と連携すること（海外レジストリと連携することを念頭に置いて構築することが望ましい）。他の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。また、継続性の確保に努めること（事故・災害発生時のためのバックアップ体制の確保等）。なお、学会の支援、患者団体の協力を得ることが望ましい。

2) 対象疾患に関する情報や研究成果を患者及び国民に広く普及する体制、及び患者との双方向のコミュニケーションを可能にする体制が整備されていること。また、成果などについて WEB 等においてわかりやすく公表すること。

3) 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と連携しない内容の提案であっても、採択条件として AMED が指定する難治性疾患政策研究班との連携を求めることがある。また、採択後に AMED が指定する難治性疾患政策研究班との連携を求めることがある。）

○特記事項：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）の有無の確認について

まず「難病情報センター」ウェブサイト^{※1}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。

※1 <http://www.nanbyou.or.jp/>

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」^{※2}を確認すること。

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

上記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 XI. 章を参照）^{※3}へ伝え、指示を仰ぐこと。

※3 つながらない場合は適宜、AMED 戦略推進部難病研究課へ問い合わせること。本件確認の不調を理由とした提案書類受付期間の延長は認めないため、期限間際の問い合わせは避けること。

(d) 提出が必要な書類について

本公募研究課題に関する提出書類一覧

資料 番号	資料の位置づけ※1		提出物	本章以外の 主な参照箇所	備考
	1-1	1-2			
1	必須	必須	研究開発提案書	IV. 章、V. 章	
2	必須	必須	要約（英語及び日本語）	IV. 章、V. 章	
3	必須	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病態解明研究用）	—	
4	原則必須	—	博士号取得後8年未満の条件を利用して応募する場合は、博士学位証明書もしくは博士学位取得証明書	—	
5	原則必須	—	産前・産後休業及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）	—	
6	原則必須	原則必須	提案する研究開発課題で実施する実験、研究に関する臨床試験又は非臨床試験プロトコール※2（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、研究体制等の当該実験又は研究を実施するために必要な情報を含む）又はプロトコール概要等（様式自由）	V章. 2. (4)	
7	任意	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	—	

※1 資料の位置づけは以下を参照すること（「1-1」「1-2」は対応する公募研究開発課題を示す）。「必須」以外の資料は、提出に際し適宜結合した上で該当資料の右上に資料番号を明示し、PDF形式で提出すること。

必須：提出がなければ不受理となる提出物

原則必須：存在する又は該当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

※2 プロトコール作成に当たっては、以下を適宜参考にすること（以下は例示であり、すべての臨床研究を網羅するものではない）。

- ・日本医師会治験促進センター（治験実施計画書及び症例報告書の見本の作成に関する手順書）

<http://www.jmacct.med.or.jp/clinical-trial/enforcement.html>

- ・日本医師会倫理審査委員会（後向き研究観察研究計画書_例）

http://rinri.med.or.jp/kaisaibi_shinsashinseisho/files/youshiki_rei2.docx

- ・先端医療振興財団臨床研究情報センター（医師主導治験実施計画書作成要領<ランダム化比較臨床試験>）

http://www.tri-kobe.org/support/download/protocol_summary2.pdf

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

(1) 研究開発課題名

2-1. 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）

2-3-1. 新規化合物^{※1}や新規医療機器等を用いた医師主導治験〔以下、新規化合物等治験〕（ステップ2）

2-3-2. ドラッグ・リポジショニング^{※2}による既承認の医薬品及び再生医療等製品を用いた医師主導治験〔以下、ドラッグ・リポジショニング治験〕（ステップ2）

※1 ここでいう「新規化合物」とは、ある地域又は国において以前に承認のうえ販売されたことがない医療用の物質を指す。

※2 ここでいう「ドラッグ・リポジショニング」とは、ある地域又は国において販売されている既存の薬剤等を、新規効能として再利用することを指す。

(2) 背景及び目標

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、再生医療等製品による治療が期待されており、新規化合物や新規医療機器等の国内での薬事承認に加え、既存の医薬品及び再生医療等製品の適応拡大を目指した医師主導治験を実施し、患者のQOLや予後の向上に資する治療法を開発することが望まれている。

本公募研究開発課題では、大学等による質の高い基礎的研究に立脚し、希少難治性疾患患者に寄与する優れた「成果やシーズ」を着実に実用化プロセスに乗せるため、大学等と企業[※]等との連携を通じて、ヒトへの医療応用を目指す（原則として第II相試験まで）。具体的には以下を目標とする。

※ここでいう「企業」とは、研究開発を行っている日本の法人格を有する株式会社、有限会社、合名会社、合同会社を指す。

(a) 薬事承認を目指すシーズ探索研究（ステップ0）においては、低分子医薬品、バイオ医薬品の開発候補物の創出を目的とした研究を行い、原則として研究期間終了時までには、特許出願と治験準備に進める状態になっていること。

低分子医薬品については、スクリーニング系構築、リード化合物を基にした化合物構造最適化、非臨床POCの確立と臨床における用法・用量の推定を行う。薬効薬理評価のみならず、薬物動態試験、初期毒性試験による評価等に留意すること。

バイオ医薬品については、至適な製造方法（ノウハウ）の確立、非臨床POCの確立と臨床における用法・用量の推定、各々のモダリティ特有の安全性評価等に留意すること。

(b) 治験準備（ステップ1）においては、治験への移行を目的とした非臨床試験の実施、治験用製剤又は製品の確保（治験薬のGMP準拠下製造、製品のQMS準拠下製造[※]等）、治験プロトコルの作成、治験相談の実施等を行い、原則として研究開発期間終了時までには、治験へ進める状況となっていること。

(c) ステップ2においては、新規化合物等治験、ドラッグ・リポジショニング治験ともに医師主導治験を実施（治験計画届の提出、第I相試験の実施、第II相試験の実施、POCの取得、GMP・QMS製造等）し、原則として研究開発期間終了時までには、薬事承認申請を実施する企業等への導出が成立すること。

※ 医療機器においては製造管理及び品質管理にQMS準拠が必須である。

なお、申請にあたっては、2-1. 薬事承認を目指すシーズ探索研究、2-2. 治験準備、2-3-1. 新規化合物等治験、2-3-2. ドラッグ・リポジショニング治験、のいずれかを明確にした上で応募すること。

(3) 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。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とする。

(a) 薬事承認を目指すシーズ探索研究（ステップ0）においては、開発候補物に係る知的財産権（新規特許出願等）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（特許出願及び原著論文と、原著論文のリファレンス数）、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）においては、非臨床試験総括報告書（毒性および安全性薬理試験についてはGLP準拠、その他治験薬概要書に掲載するデータは信頼性基準）、治験薬GMP準拠下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) 新規化合物等治験及びドラッグ・リポジショニング治験（ステップ2）においては、医師主導治験総括報告書、GMP準拠下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。

なお、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。

(4) 研究開発費の規模等

#	分野等、公募研究開発課題名	研究フェーズ	研究開発費の規模	研究開発予定期間	採択予定数
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）	1課題あたり年間 8,000千円～ 24,000千円程度 (間接経費を含まず)	最長3年 2018年度～ 2020年度	0～20課題程度
2-2		治験準備（ステップ1）	1課題あたり年間 24,000千円～ 60,000千円程度 (間接経費を含まず)	最長3年 2018年度～ 2020年度	0～7課題程度
2-3-1		新規化合物等治験（ステップ2）	1課題あたり年間 45,000千円～ 90,000千円程度 (間接経費を含まず)	最長3年 2018年度～ 2020年度	0～10課題程度
2-3-2		ドラッグ・リポジショニング治験（ステップ2）	1課題あたり年間 23,000千円～ 45,000千円程度 (間接経費を含まず)	最長3年 2018年度～ 2020年度	0～5課題程度

(注) 本ステップへの応募は原則として1期のみとする。

(5) 採択条件

【共通部分】

- (a) 最終目標である薬事承認までのロードマップが明示されていること。内容・時期等が適切、かつ明確なマイルストーンを設定すること。非臨床試験、第 I 相試験、第 II 相試験で実施する各タスクを誰が、いつまでに開始、完了するか、また各タスクの依存関係（前後関係）を研究期間内で示すこと。
- (b) 創薬化学、毒性学、薬物動態等の開発候補物の合成・製造、開発及びレギュレーションを踏まえた評価が可能な専門家が研究に関与する等、応募する研究フェーズに必要な体制が整備されていること。
- (c) 戦略的に知的財産権を確保し、それを適切に管理・活用できる体制が整備されている、又はそれを支援する専門家（弁護士、弁理士等）と契約して実施できること。また、企業とのライセンス契約締結にむけた交渉を担える担当者（弁護士等）が体制に加わっていること。なお、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。
- (d) 対象とする疾患が特定され、その疾患の現状（診断基準、国内外患者数と有病率、既存及び先行開発中の医薬品等医療技術など）及び調査方法・調査実施時期等根拠が明記されていること。また、提案する治療法の優位性が明記されていること。
- (e) バイオマーカー測定等、検体の分析・保管が必要な場合には、試料のレポジトリ等を含めた体制が整備されている、又は整備された機関等と契約して実施できること。
- (f) 対象疾患に関する情報や研究成果を患者及び国民に広く普及する体制、及び患者との双方向のコミュニケーションを可能にする体制が整備されていること。また、成果などについて WEB 等においてわかりやすく公表すること。
- (g) 患者の QOL や予後の向上に貢献する医薬品等の開発に向けた実行可能な研究計画が策定されていること。

【研究フェーズ毎の採択条件】

- (h) ステップ 0 においては、「(3) 求められる成果 (a)」に記載された成果を求めるものであり、研究の主たる部分がシーズ探索であること。
- (i) ステップ 2 においては、企業への導出予定が具体的な年次で記載されているとともに、導出予定（時期や条件）に関しては応募段階では POC 確保を前提とした企業の口頭同意でもよいが、AMED との契約締結後 1 年以内に文書同意を得られること。
- (j) ステップ 2 においては対象とする製剤等の入手方法（企業等から供与、購入、自施設で製造、委託製造）、更にドラッグ・リポジショニング治験については薬事承認状況（国内外における承認状況及び取得している主な効能・効果と用法・用量）が明記されていること。
- (k) ステップ 2 においては、契約締結後、半年以内に治験の計画の届出が可能、又は契約締結時、既に治験を実施中であること
- (l) ステップ 2 においては実施体制に導出予定企業等が参画しており、評価や進捗管理の際に当該企業等の担当者が参加すること。
- (m) ステップ 1 及び 2 においては、非臨床試験や医師主導治験（多施設で実施する場合は多施設共同医師主導治験）を実施できる体制（手順書、スタッフ、IT システム等）や専門家（生物統計家^{※1}、臨床薬理専門家、薬事専門家等）が関与する体制が整備されていること、又は整備された機関等と契約して実施できること。

※1 責任試験統計家（日本計量生物学会）等の試験統計家の認定資格を有する又は統計検定（日本統計学会公認）等の資格を有したうえで臨床試験統計家としての実績（例えば 5 試験以上等）があることが好ましい。

(n) ステップ2においては、難病患者に関するデータベース等を活用するなどして、短期間（1年以内を原則）に予定被験者数を登録できる体制が整備されている、又は初年度中に整備して実施できること（症例登録計画、予定登録数の事前調査等、根拠となるデータを明示すること）。

(o) ステップ2においては、治験実施中のもの及び既にPMDA RS戦略相談の対面助言を実施済みの場合を除き、治験開始前までに対面助言を受けること^{※2}。

更に研究開発期間中、適切な情報管理のもと、RS戦略相談における各種面談にAMEDが同席することを承諾し、対面助言の記録及びこれに関連する情報をAMEDに提供すること。

※2 応募時点又は採択時点で対面助言を実施済みであることは必須ではないが、対面助言を受け、その相談結果を研究開発計画に反映させていることが望ましい。

(p) ステップ1又はステップ2においては、以下の3つのうちいずれかのデータベースに登録するとともに、事業実績報告書の提出時に、登録の有無を記載した報告書（様式自由）を別に添付すること（Ⅲ.章2.（3）項も併せて参照）。

1) 大学病院医療情報ネットワーク（UMIN）「臨床試験登録システム」

<http://www.umin.ac.jp/ctr/index-j.htm>

2) (財)日本医薬情報センター（JAPIC）「臨床試験情報」

http://www.clinicaltrials.jp/user/cte_main.jsp

3) 日本医師会治験促進センター「臨床試験登録システム」

<https://dbcentre3.jmacct.med.or.jp/jmactr/>

○特記事項1：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^{※1}の研究課題（難治性疾患政策研究班）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。まず「難病情報センター」ウェブサイト^{※2}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。

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」^{※3}を確認すること。

上記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の旨」と「対象疾患名」を厚生労働省 健康局 難病対策課（連絡先はⅪ.章を参照）^{※4}へ伝え、指示を仰ぐこと。

※1 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。

※2 <http://www.nanbyou.or.jp/>

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

※4 つながらない場合は適宜、AMED戦略推進部難病研究課へ問い合わせること。本件確認の不調を理由とした提案書類受付期間の延長は認めないため、期限間際の問い合わせは避けること。

○特記事項2：企業との連携について

革新的医療技術の実用化には導出先企業との連携が不可欠であることから、早期より導出契約締結に向けた対応が必要である。その際には、自研究機関の利益最大化を目指すため、上述の知的財産、ライセンス担当、産学連携担当等を交えて、提携を求める企業からの研究・開発・営業能力に関するプレゼンター

ション (capability presentation) の内容を精査し、最適な候補企業を選別した上で、契約交渉に臨み、提携すること。

また、治療方法のない希少疾患に対する医療技術に対するニーズは、海外でも非常に高い。提携企業については、独自、或いは提携を通じてでも海外展開を視野に入れることができる能力（特に、契約交渉、レギュレーション対応）と体制を有しているものが必要である。

○特記事項 3：レジストリの構築について

レジストリを構築する場合は、今後 AMED が指定するデータベース等と連携すること（海外レジストリと連携することを念頭に置いて構築することが望ましい）。他の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。また、継続性の確保に努めること（事故・災害発生時のためのバックアップ体制の確保等）。なお、学会の支援、患者団体の協力を得ることが望ましい。

○特記事項 4：保険適用について

実用化については薬事承認のプロセスと同様に保険適用に関する検討が重要となる。ステップ 2 においては保険適用に向け導出先企業と適切に協議することとし、特に医療機器については手技料（技術料）や償還価格（材料価格）等について、適宜、厚生労働省医政局経済課とも相談すること。

(6) 留意事項

(a) 研究開発提案書作成時の留意点について

【共通部分】

- 1) 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すること。
- 2) 体制図として、研究開発代表者、研究開発分担者、協力企業（存在する場合）、主な外部委託先（CRO 等）等の役割を明示すること。また、連携する厚生労働省政策研究班や関連学会がある場合には、その連携の内容を具体的に明示すること。
- 3) 遵守すべき研究に関する指針等を明示し、本研究開発期間中に予定される臨床研究の内容を具体的に記載すること。また、中央倫理審査委員会等で審査をする場合（予定を含む）は、当該委員会設置機関名を明記すること。
- 4) 過去に本研究開発提案に関連する研究が AMED に採択されていた場合、採択されていた事業名、課題管理番号及び当該研究開発課題名を明示すること。
- 5) 実施済みの非臨床試験及び臨床試験が存在（提案する研究開発課題に関係するもの）する場合、全ての試験について、主な内容、実施基準（信頼性基準、GLP、GCP 等）、実施時期、結果の概要、および研究開発を継続して良いと判断した根拠等について提案書別紙に記載すること。

【研究フェーズ毎の留意点】

- 6) ステップ 1 およびステップ 2 においては、今後予定している非臨床試験の主な内容、実施基準（信頼性基準、GLP、GCP 等）、実施時期等について記載すること。その際、研究開発の継続判断に利用する試験を特定し、その判断基準を明記すること。（たとえば、低分子医薬品の場合、ステップ

1では「①保存安定性に問題ないこと、②一連の非臨床試験から、臨床開発に相応しい推定用法・用量であること、③先行開発品と〇〇で差別化され、開発意義があること、④薬物動態試験では、経口剤の場合、経口吸収率（BA）が30%以上あり、適切な持続性があること、⑤薬物代謝酵素に対する阻害作用がないか、あっても弱く、主な併用薬との薬物相互作用に安全性上のリスクが低いこと、⑥主要な代謝物が同定され、その産生経路が明確であり、ヒト特有の代謝物がないこと、⑦蓄積性がないこと、⑧hERG阻害がないか、あっても薬効濃度と1000倍以上の乖離があること、⑨評価動物でNOAELが示され、薬効用量との安全マージンが確保されていること、⑩遺伝毒性が陰性であること、⑪光毒性が陰性であることなど。さらに、ステップ2では、⑫想定薬価を踏まえ、推定臨床用量の製造が費用的に可能であるか、製法の改良により低減できる見込みがあること、⑬特許出願が特許査定されているか、国際調査報告書で示された内容に対して明快な反論ができること」など。）

7) ステップ1及びステップ2においては、研究開発の方向性を明確にするために開発候補物のターゲットプロダクトプロファイル（TPP）を明示することが望まれる。本公募におけるTPPとは、医薬品においては候補物名（一般名又は化学名）、薬事申請上の分類（新有効成分、新効能、新投与量など）、想定効能・効果（有効性が期待される疾患の症状）、用法・剤形（患者の服用容易性）、ポジショニング（医療技術における位置づけ）、有効性（臨床的に受け入れられる基準を満たしうることを、in vivo評価結果を元に明示する）、安全性上の課題（想定される毒性所見、in vivo評価による安全域評価実現可能性、毒性バイオマーカーの有無）、臨床開発における課題などとし、医療機器や再生医療等製品においては、可能な範囲で上記の考えに従いTPPを記載すること。

8) ステップ2において、研究期間内にコンパッショネート使用としての長期継続投与治験（承認申請のための治験終了から製造販売開始までの期間、継続的な治験薬提供を意図した治験）を予定している場合、当該長期継続投与治験計画と導出予定企業との役割分担も含めて記載すること。

(b) 提出が必要な書類について

本公募研究課題に関する提出書類一覧

資料番号	資料の位置づけ※1				提出物	本章以外の主な参照箇所	備考
	2-1	2-2	2-3-1	2-3-2			
1	必須				研究開発提案書	IV. 章、 V. 章	
2	必須				要約（英語及び日本語）	IV. 章、 V. 章	
3	必須				研究開発提案内容チェックシート（（ステップ0またはステップ1および2用）	—	
4	原則 必須	必須			研究開発提案書別紙（医薬品医療機器等の実用化に関する研究用）	—	
5	原則必須				PMDA RS 戦略相談の事前面談を実施済みの場合はサマリー（様式自由；アカデミア側作成の要旨で可）、対面助言を実施済みの場合は対面助言記録及び別紙（相談内容）	V章. 2. (4)	
6	原則必須				提案する研究開発課題で実施する実験、研究に関する臨床試験又は非臨床試験プロト	V章. 2. (4)	

			コール※2（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、研究体制等の当該実験又は研究を実施するために必要な情報を含む）又はプロトコール概要等（様式自由）		
7		原則必須	開発候補物に係る知的財産権（特許（物質特許、用途特許、製法・製剤特許等）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）	—	現在の進捗段階に応じて、相当する書類を添付すること。
8	—	原則必須	開発候補物概要書又はインタビューフォームもしくはGLP/non-GLP非臨床試験総括報告書、開発候補物の製剤規格及び工程記録一式（機器の場合は製品規格及び仕様）を含む	—	
9		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	—	
10		任意	採択条件にある体制整備において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	—	
11		任意	「希少疾病用医薬品」「希少疾病用再生医療等製品」として指定を受ける場合は、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もしくは指定を受けていることを示す書類	—	
12		任意	開発候補物の確保状況（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	—	
13	任意	原則必須	企業導出に関する同意の内容を示す資料（口頭同意の内容を記載した文書やメール等でも可）	本章. 2. (5). (i)	

※1 資料の位置づけは以下を参照すること（「2-1」～「2-3-2」は対応する公募研究開発課題を示す）。「必須」以外の資料は適宜結合した上で該当資料の右上に資料番号を明示し、PDF形式で提出すること。

必須：提出がなければ不受理となる提出物

原則必須：存在する又は該当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

※2 プロトコール作成に当たっては、以下を適宜参考にすること（以下は例示であり、すべての臨床研究を網羅するものではない）。

- ・ 日本医師会治験促進センター（治験実施計画書及び症例報告書の見本の作成に関する手順書）

<http://www.jmacct.med.or.jp/clinical-trial/enforcement.html>

- ・ 日本医師会倫理審査委員会（後向き研究観察研究計画書_例）

http://rinri.med.or.jp/kaisaibi_shinsashinseisho/files/youshiki_rei2.docx

- ・ 先端医療振興財団臨床研究情報センター（医師主導治験実施計画書作成要領<ランダム化比較臨床試験>）

http://www.tri-kobe.org/support/download/protocol_summary2.pdf

3. 診療に直結するエビデンス創出研究

(1) 研究開発課題名

公募研究開発課題 3.

診療に直結するエビデンス創出研究

(2) 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、治療法の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。

(3) 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。

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）等が存在する場合は、連携を必須とする（（5）（f）参照）。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。なお、創薬研究にリバース可能なクリニカルクエストがあり臨床研究データを取得できる場合、Reverse Translational Researchを念頭にした臨床研究計画を策定すること（本研究課題では、創薬研究自体は対象外とする）。

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。

なお、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担当課に提出すること。

※ 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。

(4) 研究開発費の規模等

#	分野等、公募研究開発課題名	研究開発費の規模	研究開発予定期間	採択予定数
3	診療に直結するエビデンス創出研究	1 課題あたり年間 8,000~12,000 千円程度 (間接経費を含まず)	最長 3 年 2018 年度~ 2020 年度	0~30 課題 程度

(5) 採択条件

- (a) 内容が明確で必要性の高い研究開発提案であること。(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「解決するクリニカルクエスチョン」、「解決方法」、「重要性(臨床的意義)」を明記すること。)
- (b) 実現可能性が高い研究開発提案であること(解決に向けた実現可能性が高いロードマップを作成し、内容・時期等が適切かつ明確なマイルストーンを設定すること)。
- (c) 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「医薬品、医療機器等の品質、有効性及び安全性の確保等に関する法律(以下「薬機法」という。)」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)。
- (d) バイオマーカー測定等、検体の分析・保管が必要な場合には、試料のレポジトリ等を含めた体制が整備されている、又は整備された機関等と契約して実施できること。
- (e) 作成・改訂を予定する診療ガイドライン等に関係する関連学会等において、診療ガイドライン策定に参加できない資格基準※を設定している場合、研究開発代表者が当該基準に抵触していないこと。

※ 例えば、日本医学会「診療ガイドライン策定参加資格基準ガイダンス」を参考に作成されたような関連学会の参加資格基準を指す

- (f) 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。(応募時点で連携すべき難治性疾患政策研究班が存在しないことを理由として、難治性疾患政策研究班と連携しない内容の提案がなされた場合、その後の難治性疾患政策研究班の体制の変更等により、採択条件としてAMEDが指定する難治性疾患政策研究班との連携を求めることがある。また、採択後にAMEDが指定する難治性疾患政策研究班との連携を求めることがある。)

○特記事項：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)の有無の確認について

まず「難病情報センター」ウェブサイト※1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。

また、「難病情報センター」に掲載されている「平成29年度 難治性疾患政策研究事業 研究課題一覧表」※2を確認すること。

上記を確認してもなお、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、XI. 章を参照)※3へ伝え、指示を仰ぐこと。

※1 <http://www.nanbyou.or.jp/>

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

※3 つながらない場合は適宜、AMED 戦略推進部難病研究課へ問い合わせること。本件確認の不調を理由とした提案書類受付期間の延長は認めないため、期限間際の問い合わせは避けること。

○特記事項：本研究開発課題はデータシェアリングポリシー（Ⅱ章参照）の対象とするため、提案時にデータマネジメントプランを提出すること。データマネジメントプランについては評価対象とする。なお、AMED が別途指定するデータシェアリングポリシーに準じている場合は、本ポリシーの対象外であるため、データマネジメントプランの提出は不要だが、準じているポリシー名を研究開発提案内容チェックシートに記載すること。

（6）留意事項

（a）研究開発提案書作成時の留意点について

1）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すること。

2）体制図として、研究開発代表者、研究開発分担者、協力企業（存在する場合）、主な外部委託先（CRO 等）等の役割を明示すること。また、連携する難治性疾患政策研究班や関連学会がある場合には、その連携の具体的な内容を明示すること。

3）研究協力体制として生物統計家※、知財担当者の関与を明確にすること。

※責任試験統計家（日本計量生物学会）等の試験統計家の認定資格を有する又は統計検定（日本統計学会公認）等の資格を有したうえで臨床試験統計家としての実績（例えば5試験以上等）があることが好ましい。

4）適宜、疫学専門家と連携すること。連携する場合は体制図において明示すること。

5）知的財産について記載の必要がある際には、知財担当者と相談の上、本研究開発に関連する特許権等知的財産権の取得及び申請状況等について詳細を記載すること。

6）遵守すべき研究に関する指針等を明示し、本研究開発期間中に予定される臨床研究の内容を具体的に記載すること。また、中央倫理審査委員会等で審査をする場合（予定を含む）は、当該委員会設置機関名を明記すること。

7）レジストリを構築する場合は、今後 AMED が指定するデータベース等と連携すること（海外レジストリと連携することを念頭に置いて構築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。また、継続性の確保に努めること（事故・災害発生時のためのバックアップ体制の確保等）。なお、学会の支援、患者団体の協力を得ることが望ましい。

（b）その他留意事項について

対象疾患に関する情報や研究成果を患者及び国民に広く普及する体制、及び患者との双方向のコミュニケーションを可能にする体制が整備されていること。また、成果などについて WEB 等においてわかりやすく公表すること。

(c) 提出が必要な書類について

本公募研究課題に関する提出書類一覧

資料番号	資料の位置づけ※1	提出物	本章以外の主な参照箇所	備考
1	必須	研究開発提案書	IV. 章、V. 章	
2	必須	要約（英語及び日本語）	IV. 章、V. 章	
3	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）	—	
4	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）	—	
5	原則必須	データマネジメントプラン	II 章	
6	原則必須	提案する研究開発課題で実施する実験、研究に関する臨床試験又は非臨床試験プロトコール※2（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、研究体制等の当該実験又は研究を実施するために必要な情報を含む）又はプロトコール概要等（様式自由）	V. 章 2. (4)	
7	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	—	

※1 資料の位置づけは以下を参照すること。「必須」以外の資料は、提出に際し適宜結合した上で該当資料の右上に資料番号を明示し、PDF 形式で提出すること。

必須：提出がなければ不受理となる提出物

原則必須：存在する又は該当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

※2 プロトコール作成に当たっては、以下を適宜参考にすること（以下は例示であり、すべての臨床研究を網羅するものではない）。

- ・ 日本医師会治験促進センター（治験実施計画書及び症例報告書の見本の作成に関する手順書）
<http://www.jmacct.med.or.jp/clinical-trial/enforcement.html>
- ・ 日本医師会倫理審査委員会（後向き研究観察研究計画書_例）
http://rinri.med.or.jp/kaisaibi_shinsashinseisho/files/youshiki_rei2.docx
- ・ 先端医療振興財団臨床研究情報センター（医師主導治験実施計画書作成要領＜ランダム化比較臨床試験＞）
http://www.tri-kobe.org/support/download/protocol_summary2.pdf

4. 希少難治性疾患の研究及び医療の発展に資する情報基盤構築研究（難病プラットフォーム）

（1） 研究開発課題名

希少難治性疾患の研究及び医療の発展に資する情報基盤構築研究（難病プラットフォーム）

（2） 公募の背景と目的

希少難治性疾患の研究及び医療においては、臨床情報やゲノム解析を始めとしたオミックス解析の結果、患者レジストリ情報など様々な情報を活用する必要があるが、現在、個々の研究者や医療者がアクセスできる情報は限られている。そのため、情報の集約を行い、他の研究において二次利用することで新たな知見が見いだされることが期待される。

また、自然歴調査や治験実施可能性調査、治験へのリクルート、製造販売後調査等における患者レジストリの活用について注目が集まっており、それに伴い、研究班等で構築する患者レジストリの質の担保が求められるようになってきている。

加えて、昨今、人工知能（Artificial Intelligence:以下 AI）等の技術を用いて診断や治療方法の選択に活用する事例が報告されている。希少難治性疾患では、対象となる疾患が単一遺伝子疾患に限っても7,000以上に及ぶと言われており、研究においても医療においても参照すべき情報量が膨大であるため、AI技術の活用に適した疾患領域であると考えられる。当該疾患領域の診断、病因や創薬ターゲット等の探索に有用なAI技術が開発されれば、研究においても医療においても大きな意義がある。

本研究公募は、希少難治性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。

（3） 求められる成果

（a） 以下の機能を備えたプラットフォームを構築すること

- 1) 難治性疾患実用化研究事業^{※1}及び難治性疾患政策研究事業^{※2}で当該年度に採択されている研究班等と連携し、希少難治性疾患の情報を集約し、集約した情報を他の研究や医療、企業等で二次活用可能な機能、体制を有している。
- 2) 4.（3）（a）1）で示した研究班のもつ希少難治性疾患に関する情報を集約し、そのカタログ情報（保有するデータ項目情報等）を国内外に発信する。
- 3) 4.（3）（a）1）で示した研究班に対して、データの質（正確性、信頼性、完全性、利用可能性等）が適切に担保されたレジストリの構築を支援する機能を有する。
- 4) 情報提供元の協力を得るための促進策や協力に対するメリット等が確保されている。
- 5) 情報提供元と連携後、随時情報共有が可能な機能を有する。
- 6) 臨床情報やゲノム情報など、異なる情報を横断的に統合し、一元管理が可能であり、また統合した情報を解析することで新たな知見の創出が可能である。
- 7) 個人のデータが重複して存在する場合に、そのことを検知し、修正する機能を有する。

8) 4. (3) (a) 1) で示した研究班が当プラットフォームを利用するための ELSI^{※3}に関する支援が可能である。また、研究班から情報提供を受けるにあたり、倫理委員会での承認内容や被験者の同意内容などを審査する体制が構築されている。

9) 個人情報の適切な管理及び情報基盤のセキュリティを担保する体制が構築されている。

※1 <http://www.amed.go.jp/program/list/01/05/001.html>

※2 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
(<http://www.mhlw.go.jp/seisakunitsuite/bunya/hokabunya/kenkyujigyuu/hojokin-koubo-h29/gaiyo/08-03.html>)。

※3 Ethical, Legal and Social Issues : ライフサイエンス分野の研究が社会と向き合う際に生じる課題、および、その課題に対する一連の議論や取り組みの総称。

(b) 構築されたプラットフォームの情報及び公開データベース等を活用し、希少難治性疾患の診断支援や病因の探索、創薬ターゲット等の候補を提示することが可能な AI システムを開発すること。

(c) 本研究によって得られた希少難治性疾患に関する新規発見等を示す特許出願及び原著論文と、原著論文のリファレンス数（プラットフォームを活用して他の研究等で得られた成果や AI システムを活用して得られた成果を含む）。

(4) 研究開発費の規模等

#	分野等、公募研究開発課題名	研究開発費の規模	研究開発予定期間	採択予定数
4	希少難治性疾患の研究及び医療の発展に資する情報基盤構築研究（難病プラットフォーム）	1 課題あたり 310,000 千円程度 (間接経費を含まず)	最長 3 年 2018 年度～ 2020 年度	0～1 課題 程度

(5) 採択条件

(a) 4. (3) で記載したプラットフォームの構築及び診断支援や病因探索、創薬ターゲット等の候補を提示することができる AI システムの開発に関する構想が研究計画に含まれていること。

(b) 採択後の研究開発代表者の異動等の場合も、元の代表機関との連携が解消されず、かつ研究開発推進に滞りがないよう体制を継続すること^{※1}。

(c) 本プラットフォームで構築された開発物や知財等の研究期間中および研究期間終了後の取扱いに関して規定されていること。なお、企業等が研究体制に含まれる場合は、採択後に当該企業は原則 AMED と直接契約を結ぶこととする。

(d) 臨床ゲノム情報統合データベース事業の研究班^{※2}、クリニカル・イノベーション・ネットワーク推進支援事業の研究班^{※3}、AMED ゲノム制限共有データベース^{※4}との連携に関する構想が研究計画に含まれていること。

※1 なお、採択後の研究開発計画書に研究開発代表者と代表機関との連携および体制の継続性については記載いただき、同内容を遂行いただけない場合は研究開発計画を継続しないことがあります。

※2 <http://www.amed.go.jp/program/list/04/01/006.html>

※3 <http://www.amed.go.jp/program/list/05/01/015.html>

※4 <https://gr-sharingdbs.biosciencedbc.jp/agd>

(e) プラットフォームの情報を通じて、臨床現場へ診断や治療等の支援が可能な体制を整備することが研究計画に含まれていること。

(f) 国際希少疾患研究コンソーシアム (IRDiRC) (<http://www.irdirc.org/>) 等の希少難治性疾患に関する国外の活動に対して、相互に情報共有を図る (例えば「IRDiRC Recognized Resources」(<http://www.irdirc.org/activities/irdirc-recognized-resources/>) の認定を受ける) などの連携が可能な体制が構築されていること。

(g) 自立化や公的事業への移管など、2021 年度以降のマイルストーンが設定されていること。

○特記事項：本研究開発課題はデータシェアリングポリシー (II章参照) の対象とするため、提案時にデータマネジメントプランを提出すること。データマネジメントプランについては評価対象とする。なお、AMED が別途指定するデータシェアリングポリシーに準じている場合は、本ポリシーの対象外であるため、データマネジメントプランの提出は不要だが、準じているポリシー名を研究開発提案内容チェックシートに記載すること。

(6) 留意事項

(a) プラットフォームについて

本研究によって構築するプラットフォームは希少難治性疾患の研究における情報基盤として、また、医療現場でも活用されることを想定していることから、収集されたデータを第三者 (外部研究機関、企業等) が利活用できることを原則とする。このことを前提として、必要なルールの策定 (第三者への提供に関する規則、収集されるデータの技術的要件・規格等) を検討し、AMED 及び厚生労働省からの要請があれば適切に協力すること。

構築するプラットフォームに関して、事業継続性の確保に努めること (事故・災害発生時のためのバックアップ体制の確保等)。

(b) 研究開発提案書作成時の留意点について

- 1) 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すること。
- 2) 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ーン及び具体的な達成時期を明記すること。また各タスクの依存関係 (前後関係) を研究期間内で示すこと。
- 3) 体制図として、研究開発代表者、研究開発分担者、協力企業 (存在する場合)、主な外部委託先 (CRO 等) 等の役割をを明示すること。

- 4) 研究体制として医療情報学やAIの専門家、生物統計家、データマネジメントの専門家、知財担当者、ELSI担当者の関与を明確にすること。
- 5) 知的財産について記載の必要がある際には、知財担当者と相談の上、本研究開発に関連する特許権等知的財産権の取得及び申請状況等について詳細を記載すること。
- 6) 遵守すべき研究に係る指針等を明示し、本研究開発期間中に予定される臨床研究の内容を具体的に記載すること。また、中央倫理審査委員会等で審査をする場合（予定を含む）は、当該委員会設置機関名を明記すること。

(c) 提出が必要な書類について

本公募研究課題に関する提出書類一覧

資料番号	資料の位置づけ※1	提出物	本章以外の主な参照箇所	備考
1	必須	研究開発提案書	IV. 章、V. 章	
2	必須	要約（英語及び日本語）	IV. 章、V. 章	
3	必須	研究開発提案内容チェックシート（難病プラットフォーム用）	—	
4	必須	研究開発提案書別紙（難病プラットフォーム用）	—	
5	原則必須	データマネジメントプラン	II 章	
6	原則必須	提案する研究開発課題で実施する実験、研究に関する臨床試験又は非臨床試験プロトコル※2（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、研究体制等の当該実験又は研究を実施するために必要な情報を含む）又はプロトコル概要等（様式自由）	V 章. 2. (4)	
7	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	—	

※1 資料の位置づけは以下を参照すること。

必須：提出がなければ不受理となる提出物

原則必須：存在する又は該当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

※2 プロトコル作成に当たっては、以下を適宜参考にすること（以下は例示であり、すべての臨床研究を網羅するものではない）。

- ・日本医師会治験促進センター（治験実施計画書及び症例報告書の見本の作成に関する手順書）

<http://www.jmacct.med.or.jp/clinical-trial/enforcement.html>

- ・日本医師会倫理審査委員会（後向き研究観察研究計画書_例）

http://rinri.med.or.jp/kaisaibi_shinsashinseisho/files/youshiki_rei2.docx

- ・先端医療振興財団臨床研究情報センター（医師主導治験実施計画書作成要領<ランダム化比較臨床試験>）

http://www.tri-kobe.org/support/download/protocol_summary2.pdf

5. 希少未診断疾患に対する診断プログラムの開発に関する研究

(1) 研究開発課題名

未診断疾患イニシアチブ (Initiative on Rare and Undiagnosed Disease (IRUD)) : 希少未診断疾患に対する診断プログラムの開発に関する研究

(2) 背景及び今後望まれること

1) IRUD の背景

希少疾患や難治性疾患の診断はしばしば困難であり、未診断であることで患者とその家族に身体的な不利益のみならず精神的な不利益をもたらす。これら未診断疾患には、これまで報告がなされていない新規の疾患だけでなく、報告はなされていても患者数が少なく診断が困難な希少疾患等も含まれている。希少疾患では、その患者数の少なさから研究が進まず、発症メカニズムや診断方法が確立されていないことが多く、発症から診断に至るまで数年を要することも少なくない。未診断疾患患者の診断には、希少疾患を専門とする複数の医師による臨床的検討やエクソーム解析・全ゲノム解析といった網羅的な遺伝学的解析が有効であることが海外のプロジェクトで示されている。また、特に新規疾患の診断には、類似症状を有する複数の症例を関連付けて検討を行う必要があるため、これまでは十分に共有されてこなかった各々の臨床医が保持する患者の臨床情報と遺伝学的情報を積極的に共有し、全国レベルで照合できる体制を構築することが求められる。さらに、非常に希少な疾患については、国際的に情報共有する仕組みの構築も必要である。

AMED は、希少・未診断疾患患者に対して、包括的診断体制の全国配置、次世代シーケンサーを含めた革新的検査の利活用、国際連携可能な臨床情報データベースの確立による診断確定を目指す基幹研究プロジェクトとして、2015年7月より未診断疾患イニシアチブ (Initiative on Rare and Undiagnosed Diseases: IRUD) を推進している。

IRUD では、後述する患者の紹介基準および診断フローチャートを定め、2015年7月の研究開始以降、多くの家系について解析を行い (2,230家系 (2016年度末時点))、世界初の疾患の同定を含む多くの患者の診断に成功する等目覚ましい成果をあげてきた。

IRUD 紹介基準に基づき、本邦における未診断疾患患者の実態調査を行ったところ、IRUD への紹介を希望する患者は3万人を超える数の存在が示唆されるに至っている。また、網羅的遺伝学的解析等を含めた総合的な検討をもってしても全症例の確定診断には到っておらず、更なる追究が望まれている。

2) IRUD の理念および共通認識 (IRUD 企画書[※])

AMED が主導する IRUD は、個別領域の研究にとどまらず、日本全国の、多様な症状を有し得る未診断疾患患者の診断を行う体制を構築することを通じて、診断結果を患者に返還することに加え、患者・家族を支援する環境整備に資するものである。公平かつ安定的な制度の確立等を目指す世界にも類を見ない我が国独自の難病対策と連携した取り組みである。これら IRUD の理念および共通認識については、IRUD 企画書に記載されており、本公募に応募するものは十分にその内容を把握することが望まれる。

※IRUD企画書 (2016年4月) <http://www.amed.go.jp/program/IRUD/>

3) IRUD 実施体制

これまでの IRUD は、AMED 及び IRUD 拠点病院、IRUD データセンター、IRUD 解析センターからなり、それぞれ「IRUD 診断連携」、「IRUD データネットワーク」、「IRUD 解析コンソーシアム」を構成している (それぞれの役割・実施業務等については上記 IRUD 企画書 (3 ページ「4. IRUD 実施体制」等) を確認すること)。また、IRUD 全体にかかわる運営方針等について検討・決定機能を担う「IRUD 推進会議」を設置してお

り、本公募より、この機能を引き継ぎ発展・運営するものとして、後述する IRUD コーディネーティングセンターを創設する。

4) IRUD における未診断疾患の診断体制、臨床情報と遺伝学的情報のデータベースの構築と具体的な運用方法

原則として 2017 年度末までの体制を継続することとする (IRUD 企画書 7 ページ「5. IRUD における未診断疾患の診断体制の構築と具体的な運用方法」、同 11 ページ「6. 臨床情報と遺伝学的情報のデータベース構築と具体的な運用方法」、および IRUD Exchange データ登録マニュアル :

<http://www.amed.go.jp/program/IRUD/> 等) が、採択された研究機関の構成や状況に鑑み、IRUD における未診断疾患診断フローチャート (IRUD 企画書 8 ページ図 3) や IRUD で対象とする患者の基準 (紹介基準) (IRUD 企画書 9 ページ) 等は適宜修正が検討されることが望ましい。

5) IRUD 成果の活用へ向けた活動

IRUD の研究成果としてはまず、新規疾患原因遺伝子の同定や症例報告・診断を進める (IRUD 企画書 12 ページ「7. IRUD 成果の活用へ向けた活動」等)。さらに研究を発展させるため、IRUD 拠点病院、IRUD データセンター、IRUD 解析センターから IRUD 推進会議への定期的な成果報告だけでなく、IRUD 研究班の合同班会議等も活用してデータシェアリングを進める。特に、未診断疾患イニシアチブの成果を発展させる研究 (IRUD Beyond) 分野 (AMED ウェブサイト IRUD ホームページ <http://www.amed.go.jp/program/IRUD>, 難治性疾患実用化研究事業 2017 年度 2 次公募 http://www.amed.go.jp/koubo/01/05/0105C_00153.html, 難治性疾患実用化研究事業 2017 年度 3 次公募 http://www.amed.go.jp/koubo/01/05/0105B_00155.html) との連携は極めて重要となる。

(3) 目標

1) 研究開発課題全体としての目標

- ・ 現在厚労省で構築が目指されている難病医療提供体制 (http://www.mhlw.go.jp/file/05-Shingikai-10601000-Daijinkanboukouseikagakuka-Kouseikagakuka/0000149168_16.pdf) 等と連携し、多臓器にわたる疾患・遺伝子異常が疑われる疾患等、多様な疾患に対応可能な体制が、全国各地域で自律的に機能するシステム構築を目指す。
- ・ IRUD 診断連携の構築により、全国で未診断疾患患者が適切な医療機関にアクセスできるようにし、希少・未診断疾患の診断を行うようにした結果として、未診断のまま取り残される患者数を減少させるとともに、IRUD 拠点病院の関連する医師・医療関係者の診断技術を向上させる。また、連絡先やフロー等の明確化の下に、未診断疾患の診断に関する最終的な外注化・社会実装に向けたグッドプラクティス (好事例) を報告する。
- ・ 関連する難病研究班等と連携し、同定された新規疾患原因遺伝子の機能や発症メカニズム解析を進めることにより、当該希少疾患に対する治療薬・診断法等の開発につなげる。具体的には、IRUD Beyond の beyond diagnosis 領域 (難治性疾患実用化研究事業 2017 年度 3 次公募 http://www.amed.go.jp/koubo/01/05/0105B_00155.html), もしくは難治性疾患実用化研究事業 Step 0 等へのステップアップ、IRUD Beyond の beyond genotyping 領域で採択されたモデル動物等研究コーディネーティングネットワークとの連携による functional analysis の推進 (難治性疾患実用化研究事業 2017 年度 3 次公募 http://www.amed.go.jp/koubo/01/05/0105B_00155.html) を目指す。
- ・ 患者の臨床情報や遺伝学的情報に関して国際的に共通のフォーマットによる IRUD Exchange 等を用い

たデータネットワークを構築することにより、IRUD 研究班内だけでなく AMED 臨床ゲノム情報統合データベース整備事業 (<http://www.amed.go.jp/program/list/04/01/006.html>) 等を通じた国内データシェアリングおよび、Patient Archive (<http://www.patientarchive.org/#/home>)、Phenome Central (<https://phenomecentral.org>)、Matchmaker Exchange (<http://www.matchmakerexchange.org>) および Orphanet/Orphanet Japan 等を介した国際データシェアリングを推進する外のデータベースとの情報共有も進める。また、IRUD Beyond の beyond borders 領域で採択された調査研究班との連携による国際情報共有の推進（難治性疾患実用化研究事業 2017 年度 2 次公募 http://www.amed.go.jp/koubo/01/05/0105C_00153.html) を目指す。

2) IRUD コーディネーティングセンターの目標

- ・ IRUD の基本原則に則り、IRUD 拠点病院、IRUD 解析センター、IRUD データセンターを統括し、オールジャパン体制の構築を行うとともに、運営規則（IRUD データマネージメントポリシー、IRUD データシェアリングポリシー等を含む）の策定、IRUD 企画書の改定、IRUD 活動や連絡先等の周知（ポータルサイトの管理等）、及び各 IRUD 拠点病院とも連携した地域医療機関等への啓発活動を推進する。
- ・ IRUD 拠点病院、IRUD 解析センター、IRUD データセンターと連携の上、IRUD 診断連携とりまとめ機関、IRUD 解析コンソーシアムとりまとめ機関を選択し、AMED とともに最高意思決定機関である IRUD 推進会議の運営および実績確認を行う。また、班会議を運営する。
- ・ IRUD 臨床専門分科会の構築を推進するとともに、あらたに IRUD の検体保存を行うバイオレポジトリに関する規則を構築し、IRUD における未診断疾患診断フローチャート（IRUD 企画書 8 ページ図 3）に組み入れる。フローチャート、及び IRUD で対象とする患者の基準（紹介基準）（IRUD 企画書 9 ページ）等についてその妥当性を含めて適宜修正を検討する。
- ・ IRUD 推進会議での協議の下、IRUD 拠点病院と IRUD 解析センターとの対応を明確にする。また、AMED と連携の上、全国で未診断疾患患者が適切な医療機関にアクセスできるように、IRUD 拠点病院の地域バランスを鑑みた拠点病院の追加等を検討する。
- ・ 未診断疾患の確定診断を可能な限り多く実現するため、IRUD Beyond 領域採択研究班、オミックス拠点等 AMED 難治性疾患実用化研究事業研究班、および厚生労働省政策研究班などとの連携も推進し、更には国際展開を視野に入れた研究開発を遂行できるようにする。また、診断が確定された症例情報については、AMED 臨床ゲノム情報統合データベース整備事業と連携の上、非制限共有することで、国内外に重要な情報提供に寄与することを目指す。
- ・ AMED の中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会の基盤整備モデル事業 (<http://www.amed.go.jp/program/list/05/01/010.html>) と連携の上、中央倫理審査委員会（Central IRB）設置を推進する。
- ・ 希少疾患、未診断疾患領域の国際状況を十分に把握し、IRUD データネットワーク等との連携の上、国内外のデータシェアリング等を推進する。特に、国際希少疾患研究コンソーシアム（International Rare Diseases Research Consortium: IRDiRC <http://www.irdirc.org>）、国際未診断疾患ネットワーク（Undiagnosed Diseases Network International: UDNI <http://www.udninternational.org>）等の情報を迅速に反映させることが望まれる。

3) IRUD 診断連携、IRUD 拠点病院の目標

- ・ IRUD コーディネーティングセンター、IRUD 解析コンソーシアム、IRUD データネットワークと連携の上、IRUD の基本原則に則った IRUD 診断連携を構築する。また、IRUD コーディネーティングセンターと調整

の上、IRUD 拠点病院の中から IRUD 診断連携のとりまとめ機関を選び、IRUD 推進会議の運営、実績確認等に寄与する。

- ・ 原則として、小児と成人の両者を扱い、IRUD 企画書別添 1（14 ページ：IRUD 診断委員会構成メンバー）に記載されたメンバー（複数の疾患領域の専門家、遺伝カウンセラー、地域のかかりつけ医、コーディネーター等）によって構成される IRUD 診断委員会を構築する。なお、IRUD で扱う患者の多くが小児から成人まで長期フォローアップを必要とする点を鑑み、小児と成人のどちらかを主体に扱わざるを得ない研究機関の場合、他の機関との連携によって補完する。
- ・ 上記 IRUD 診断委員会によって IRUD における未診断疾患診断フローチャート（特に、複数の疾患等領域の診断委員会メンバーによって行われる解析前・解析後検討会は IRUD における極めて重要な要素である）の継続的運営を可能とし、組み入れ患者の IRUD 拠点病院への受診から半年以内に診断検討結果を返却することを目指す。
- ・ IRUD コーディネーティングセンターと協議の上、依頼する IRUD 解析センターを明確にする。原則として、1つの IRUD 拠点病院は対応する1つの IRUD 解析センターへ依頼を行うが、個別の症例や個別の機関の状況を鑑み適宜検討を行う。
- ・ 未診断疾患の解明のために必須となる国内外のデータシェアリングを推進するため、IRUD のデータシェアリングポリシーに則った研究開発を実施する。具体的には、原則として IRUD に組み入れられた全症例の IRUD Exchange 等への登録を目指すとともに、IRUD Beyond 領域採択研究班、AMED 難治性疾患実用化研究事業研究班、AMED 臨床ゲノム情報統合データベース整備事業採択班、および厚生労働省政策研究班等との連携を通じた国内データシェアリングおよび、IRUD Exchange、Patient Archive、Phenome Central、Matchmaker Exchange および Orphanet (<http://orpha.net>) /Orphanet Japan 等を介した国際データシェアリングを推進する。
- ・ 同定された新規疾患原因遺伝子の機能や発症メカニズム解析を進めることにより、当該希少疾患に対する治療薬・診断法等の開発につなげる。具体的には、IRUD Beyond の beyond diagnosis 領域（難治性疾患実用化研究事業 2017 年度 3 次公募）、もしくは難治性疾患実用化研究事業 Step 0 等へのステップアップを目指す。
- ・ IRUD 解析コンソーシアムとの連携をもってしても診断が確定できなかった場合の対応計画（モデル動物等研究コーディネーティングネットワーク、オミックス拠点等難病研究班との連携等）の策定を目指す。

4) IRUD解析コンソーシアム、IRUD解析センターの目標

- ・ IRUD コーディネーティングセンター、IRUD 診断連携、IRUD データネットワークと連携の上、IRUD の基本原則に則った IRUD 解析コンソーシアムを構築する。また、IRUD コーディネーティングセンターとの調整の上で、IRUD 解析センターの中から IRUD 解析コンソーシアムのとりまとめ機関を選び、IRUD 推進会議の運営、実績確認等に寄与する。
- ・ IRUD 解析センターは、IRUD 拠点病院で網羅的遺伝学的解析が必要と判断された症例について次世代シーケンサー等を用いた解析を行い、IRUD 拠点病院およびかかりつけ医との連携の上で、解析結果の解釈も行う。
- ・ 原則として、上記次世代シーケンサーを用いた網羅的遺伝学的解析の解析（解釈部分を除く）については、品質が十分に担保された外注企業との連携も行い、最終的な外注化・社会実装に向けたグッドプラクティス（好事例）を報告する。
- ・ IRUD における未診断疾患診断フローチャートに従って、組み入れ患者の IRUD 拠点病院への受診から半年以内に診断検討結果を返却可能となるよう、解析/解釈結果を IRUD 拠点病院に返却することを目指す。

- ・ IRUD コーディネーティングセンターと協議の上、依頼を受ける IRUD 拠点病院を明確にする。原則として、1つの IRUD 拠点病院は対応する1つの IRUD 解析センターへ依頼を行うが、個別の症例や個別の機関の状況を鑑み適宜検討を行う。
- ・ IRUD 診断連携との間でデータの所有と論文化の優先権に関するルールを IRUD データマネジメントポリシーとして策定する。
- ・ 未診断疾患の解明のために必須となる国内外のデータシェアリングを推進するため、IRUD のデータシェアリングポリシー（次項 IRUD データセンターで記載）に則った研究開発を実施する。具体的には、原則として IRUD に組み入れられた全症例の IRUD Exchange 等への登録を目指すとともに、IRUD Beyond 領域採択研究班、AMED 難治性疾患実用化研究事業研究班、AMED 臨床ゲノム情報統合データベース整備事業採択班、および厚生労働省政策研究班等との連携を通じた国内データシェアリングおよび、IRUD Exchange、Patient Archive、Phenome Central、Matchmaker Exchange および Orphanet/Orphanet Japan 等を介した国際データシェアリングを推進する。
- ・ 同定された新規疾患原因遺伝子の機能や発症メカニズム解析を進めることにより、当該希少疾患に対する治療薬・診断法等の開発につなげる。具体的には、IRUD Beyond の beyond diagnosis 領域（難治性疾患実用化研究事業 2017 年度 3 次公募）、もしくは難治性疾患実用化研究事業 Step 0 等へのステップアップを目指す。
- ・ 診断が確定できなかった場合の対応計画（モデル動物等研究コーディネーティングネットワーク、オミックス拠点等難病研究班との連携等）の策定を目指す。

5) IRUDデータネットワーク、IRUDデータセンターの目標

- ・ IRUD コーディネーティングセンター、IRUD 診断連携、IRUD 解析コンソーシアムと連携の上、IRUD の基本原則に則った IRUD データネットワークを構築する。また、IRUD 推進会議の運営、実績確認等に寄与する。
- ・ IRUD 研究の中で得られた患者の臨床情報と遺伝学的情報等を管理し、国内外で段階的に共有する IRUD Exchange 等システムを構築、運営、改善する。そのシステムでは、IRUD 拠点病院、IRUD 解析センター等が、IRUD にエントリーされた患者の情報を、国際基準の共通言語化されたフォーマットで登録できるようにし、セキュリティ管理されたデータベース化する。診断確定のため、IRUD 研究班内のみならず、国際的にも段階的に制限共有できるようにする。さらに、診断が確定された症例情報については、AMED 臨床ゲノム情報統合データベース整備事業と連携の上、非制限共有することで、国内外に重要な情報提供に寄与することを目指す。
- ・ 登録されたデータは IRUD データマネジメントポリシーに則って、IRUD 拠点病院もしくは IRUD 解析センターに帰属するものとする。
- ・ IRUD コーディネーティングセンターとの協議の上、IRUD Exchange データ登録マニュアル (<http://www.amed.go.jp/program/IRUD/>) 等データシェアリングポリシーを策定・公開するとともに、AMED のデータシェアリングポリシーとの整合性を検討し、適宜修正を行うことが望まれる。
- ・ 未診断疾患の解明のために必須となる国内外のデータシェアリングを推進するため、IRUD Beyond 領域採択研究班、AMED 難治性疾患実用化研究事業研究班、AMED 臨床ゲノム情報統合データベース整備事業採択班、および厚生労働省政策研究班等との連携を通じた国内データシェアリングおよび、IRUD Exchange、Patient Archive、Phenome Central、Matchmaker Exchange および Orphanet/Orphanet Japan 等を介した国際データシェアリングを推進する。
- ・ 診断が確定できなかった場合の対応計画（モデル動物等研究コーディネーティングネットワーク、オミ

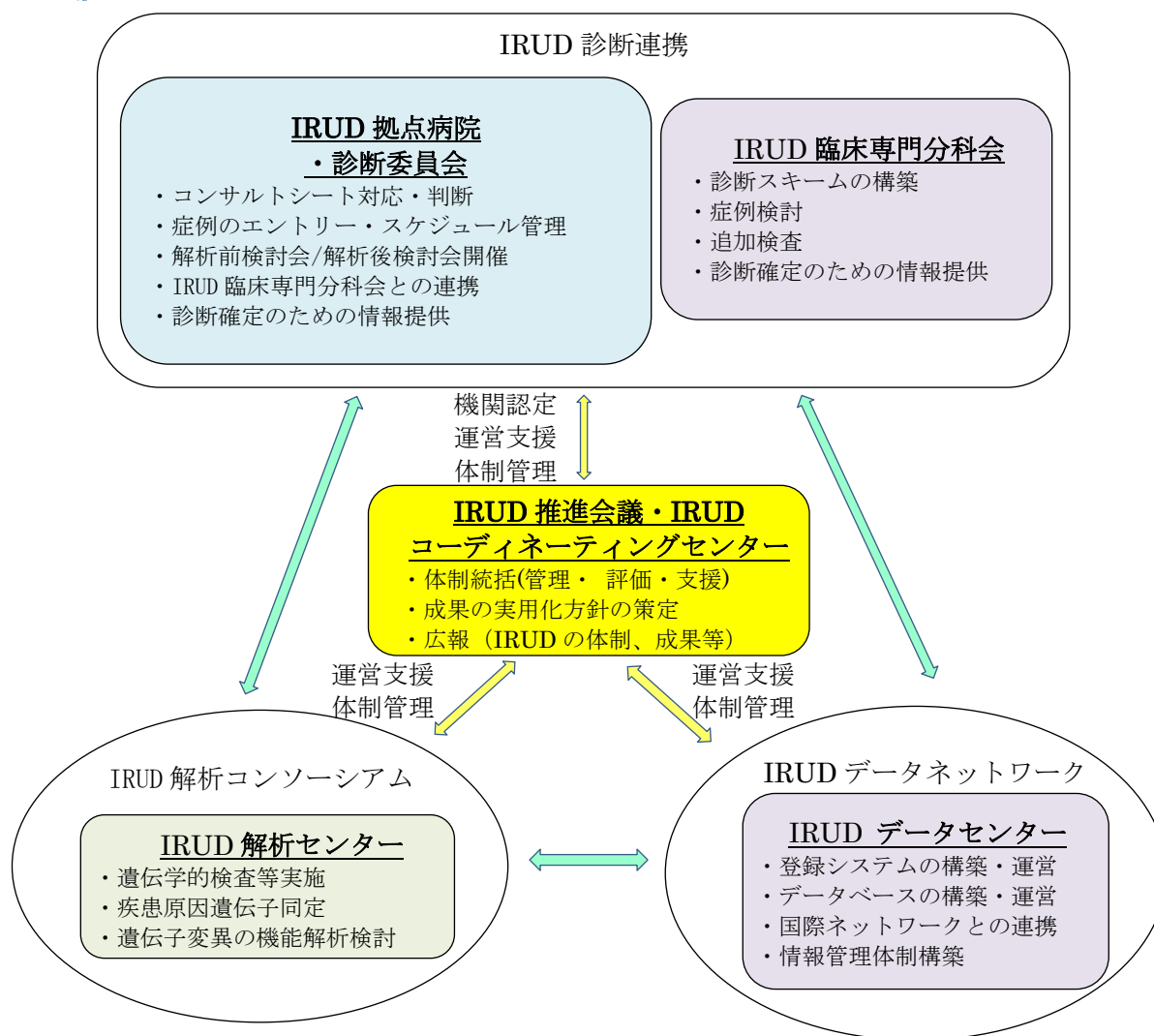
ックス拠点等難病研究班との連携等)に関連し、データネットワークを最大限活用できるよう検討を行う。

(4) 研究開発終了時に求められる成果

- ・ 多臓器にわたる疾患・遺伝子異常が疑われる疾患等、多様な疾患に対応可能な体制が、全国各地域で自律的に機能するシステム構築を目指す。
- ・ IRUD 診断連携の構築により、全国で未診断疾患患者が適切な医療機関にアクセスできるようにし、希少・未診断疾患の診断を行うようにした結果として、未診断のまま取り残される患者数を減少させるとともに、IRUD 拠点病院の関連する医師・医療関係者の診断技術を向上させる。
- ・ 患者の臨床情報や遺伝学的情報に関して国際的に共通のフォーマットによるデータベースを構築することにより、IRUD 研究班内だけでなく国内外のデータベースとの情報共有を進める。
- ・ 関連する難病研究班等と連携し、同定された新規疾患原因遺伝子の機能や発症メカニズム解析を進めることにより、当該希少疾患に対する治療薬・診断法等の開発につなげる。具体的には、IRUD Beyond の beyond diagnosis 領域 (難治性疾患実用化研究事業 2017 年度 3 次公募)、もしくは難治性疾患実用化研究事業 Step 0 等へのステップアップ、IRUD Beyond の beyond genotyping 領域で採択されたモデル動物等研究コーディネーティングネットワークとの連携による functional analysis の推進 (難治性疾患実用化研究事業 2017 年度 3 次公募)、および IRUD Beyond の beyond borders 領域で採択された調査研究班との連携による国際情報共有の推進 (難治性疾患実用化研究事業 2017 年度 2 次公募) が望まれる。

(5) 研究開発費の規模等

	分野等、公募研究開発課題名	研究フェーズ	研究開発費の規模	研究開発予定期間	採択予定機関数
本研究開発分野においては、IRUD コーディネーティングセンター、IRUD 拠点病院、IRUD 解析センター、IRUD データセンターを統合し、IRUD コーディネーティングセンターを代表機関とする 1 研究開発課題として採択する。					
5-1	IRUD コーディネーティングセンター	基盤構築研究	1 課題あたり年間 40,000 千円程度 (間接経費を含まず)	最長 3 年 2018 年度～ 2020 年度	1 課題 程度
5-2	IRUD 拠点病院	基盤構築研究	1 課題あたり年間 4,000～8,000 千円程度 (間接経費を含まず)	最長 3 年 2018 年度～ 2020 年度	30～40 課 題 程度
5-3	IRUD 解析センター	基盤構築研究	1 課題あたり年間 40,000～80,000 千円程 度 (間接経費を含ま ず)	最長 3 年 2018 年度～ 2020 年度	3～5 課題 程度
5-4	IRUD データセンター	基盤構築研究	1 課題あたり年間 35,000 千円程度 (間接経費を含まず)	最長 3 年 2018 年度～ 2020 年度	1 課題 程度



(6) 採択条件

1) IRUD コーディネーティングセンター

- IRUDの基本原則に則り、IRUD拠点病院、IRUD解析センター、IRUDデータセンターを統括し、オールジャパン体制の構築を行うとともに、運営規則の策定、IRUD企画書の改定、IRUD活動や連絡先等の周知（ポータルサイトの管理等）や各IRUD拠点病院とも連携した地域医療機関等への啓発活動を推進するための基盤（組織・設備・人材）が整備されており、実績が十分であること。
- IRUD拠点病院、IRUD解析センター、IRUDデータセンターと連携の上、IRUD診断連携とりまとめ機関、IRUD解析コンソーシアムとりまとめ機関を選択し、最高意思決定機関であるIRUD推進会議および班会議の運営および実績確認が可能であること。
- あらたにIRUDの検体保存を行うバイオレポジトリに関する規則を構築し、IRUDにおける未診断疾患診断フローチャート（IRUD企画書8ページ図3）に組み入れること。また、フローチャート、及びIRUDで対象とする患者の基準（紹介基準）（IRUD企画書9ページ）等についてその妥当性を含めて適宜修正を検討すること。
- 未診断疾患の確定診断を可能な限り多く実現するため、IRUD Beyond領域採択研究班、オミックス拠点等

AMED難治性疾患実用化研究事業研究班、および厚生労働省政策研究班などとの連携も推進し、更には国際展開を視野に入れた研究開発を遂行できるようにすること。

- ・ AMED の中央治験審査委員会・中央倫理審査委員会の基盤整備モデル事業 (<http://www.amed.go.jp/program/list/05/01/010.html>) とともに連携の上、中央倫理審査委員会 (Central IRB) 設置を推進すること。

2) IRUD 拠点病院

- ・ IRUD コーディネーティングセンターを代表機関とする 1 研究開発課題の分担機関となり、IRUD の基本原則に則った IRUD 診断連携を構築すること。
- ・ 新規遺伝子変異や新規疾患概念の確立など、蓄積データを用いた研究成果創出までのロードマップおよび IRUD 解析センターにより解明できなかった場合の対応計画 (モデル動物コーディネーティングネットワーク、オミックス拠点等難病研究班との連携など) が明示されていること。未診断疾患の解明のため、個人情報の保護に配慮したデータシェアリングを行うこと。
- ・ IRUD に対応できる基盤 (組織・設備・人材) が整備されていること。具体的には、未診断疾患に対する各科にまたがる横断的アプローチを可能とすべく、複数の疾患領域の専門家が配置されていること。遺伝カウンセリング等の機能が既に整備されていること。なお、原則として、小児と成人の両者を扱うこと。IRUD で扱う患者の多くが小児から成人まで長期フォローアップを必要とする点を鑑み、小児と成人のどちらかを主体に扱わざるを得ない研究機関の場合は、他の機関との連携によって補完できること。

3) IRUD 解析センター

- ・ IRUD コーディネーティングセンターを代表機関とする 1 研究開発課題の分担機関となり、IRUD の基本原則に則った IRUD 解析コンソーシアムを構築すること。
- ・ IRUD 解析センターは、IRUD 拠点病院として必要とされた症例について NGS を用いて遺伝子配列等の解析を行う。IRUD 解析センターは、解析状況、解析結果等の情報を IRUD 推進会議に定期的に報告すること。
- ・ NGS 解析には、品質が十分に担保された外注企業との連携も行い、最終的な外注化・社会実装に向けたグッドプラクティス (好事例) を報告できること。
- ・ IRUD に対応できる基盤 (組織・設備・人材) が整備されていること。

4) IRUD データセンター

- ・ IRUD コーディネーティングセンターを代表機関とする 1 研究開発課題の分担機関となり、IRUD の基本原則に則った IRUD データネットワークを構築すること。
- ・ IRUD 研究の中で、得られたデータを管理し共有するシステム (仮称: IRUD exchange) を構築する。そのシステムには、IRUD 診断委員会、IRUD 解析センター等により、IRUD にエントリーされた患者について、国際基準の共通言語化された臨床情報等を登録できるようにし、データベース化し、必要に応じて、IRUD 研究班内のみならず、国際的にも制限共有できるようにする。データベースのセキュリティ管理には十分に注意し、研究開始 3 ヶ月以内に稼動できるようにすること。
- ・ IRUD に対応できる基盤 (組織・設備・人材) が整備されていること。

(7) 留意事項

- ・ 既存の機関以外からの応募にあたっては、現実施体制を十分に把握し、研究開発開始後 1 年以内を目安として円滑な基盤機能の運営が可能であることを、研究開発提案書内に明記すること。

- ・ 既存の機関からの応募については、現実施体制での実績とその将来の発展を考慮して研究開発費を配分するため、事後評価報告書に記載された内容を含めた研究開発提案内容とすること。
- ・ 研究開発提案書作成時の留意点について
 - ① 研究開発の目的、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開発のハイライトを記載すること。
 - ② 研究開発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ーン及び具体的な達成時期を明記すること。
 - ③ 体制図として、研究開発代表者、研究開発分担者等の相互連携関係を明示すること。また、連携する難治性疾患政策研究班や関連学会がある場合には、その連携の具体的な内容を明示すること。
 - ④ 研究協力体制として、法務担当者、知財担当者の関与を明確にすること。
 - ⑤ 遵守すべき研究に関する指針等を明示すること。
- ・ 研究開発提案書以外に必要な書類について
 - ① 研究開発提案書要約（英語及び日本語）を添付すること。
 - ② 研究開発提案書別紙（希少未診断疾患に対する診断プログラムの開発に関する研究用）を添付すること。
 - ③ 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・最新のものに絞り記入の上、本文を別途参考資料として添付すること。

（表）本公募研究課題に関する提出書類一覧

資料番号	資料の位置づけ※	提出物	本章以外の主な参照箇所	備考
1	必須	研究開発提案書	IV. 章、V. 章	
2	必須	要約（英語及び日本語）	IV. 章、V. 章	
3	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	—	

※ 資料の位置づけは以下を参照すること。「必須」以外の資料は、提出に際し適宜結合した上で該当資料の右上に資料番号を明示し、PDF形式で提出すること。

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



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

〒100-0004 東京都千代田区大手町1-7-1 読売新聞ビル 22F
Tel 03-6870-2223 Fax 03-6870-2243
2017.11