（様式１）

**日本医療研究開発機構　難治性疾患実用化研究事業**

**平成30年度　3次公募　研究開発提案書**

|  |  |
| --- | --- |
| 研究開発課題名（英語表記） |  |
| 公募研究開発課題名 |  |
| 研究開発期間 | 年　　月　　日　～　　　年　　月　　日（　　年間） |
| 分　野 |  |
| 分　科 |  |
| 細　目 |  |
| 細目表　　　キーワード |  |
| 細目表以外のキーワード |  |
| 研究開発代表者氏名 | （フリガナ） |  |
| （漢字等） |  |
| 所属研究機関 |  |
| 住所 | 〒 |
| 電話番号 |  | ＦＡＸ |  |
| E-mail |  |
| 部局 |  |
| 職名 |  |
| 経理事務担当者氏名 |  | 経理担当部局名・連絡先等 |  |
| 研究開発分担者氏名※ | （フリガナ） |  |
| （漢字等） |  |
| 所属研究機関 |  |
| 住所 | 〒 |
| 電話番号 |  | ＦＡＸ |  |
| E-mail |  |
| 部局 |  |
| 職名 |  |
| 経理事務担当者氏名 |  | 経理担当部局名・連絡先等 |  |

※　採択された後にAMEDと分担機関が直接委託研究開発契約を締結する場合は、研究開発分担者氏名以下の情報を記入してください。再委託研究開発契約となる場合は、記入不要とします。

研究開発分担者等は人数に応じて適宜記入欄を追加してください。

**各年度別経費内訳**

|  |  |  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- | --- | --- |
| （１）全体経費 |  |  |  |  | （単位：千円） |
| 大項目 | 中項目 | 第1年度(年度) | 第2年度(年度) | 第3年度(年度) | 計 |
| 直接経費 | 1.物品費 | 設備備品費 |  |  |  |  |
| 消耗品費 |  |  |  |  |
| 2.旅　費 | 旅　費 |  |  |  |  |
| 3.人件費　・謝金 | 人件費 |  |  |  |  |
| 謝金 |  |  |  |  |
| 4.その他 | 外注費 |  |  |  |  |
| その他 |  |  |  |  |
| 直接経費小計 |  |  |  |  |
| 間接経費（ 　　％）（上記経費の30%目安※） |  |  |  |  |
| 合　計 |  |  |  |  |
| ※間接経費は直接経費の30%以下とします。 |

|  |  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- | --- |
| （２）機関別経費 |  |  |  | （単位：千円） |
| 種別 | 機関名 | 第1年度(年度) | 第2年度(年度) | 第3年度(年度) | 合計 |
| 代表機関 |  |  |  |  |  |
| 分担機関1 |  |  |  |  |  |
| 分担機関2 |  |  |  |  |  |
| 分担機関3 |  |  |  |  |  |
| 研究開発費合計額 |  |  |  |  |

（３）直接経費の具体的な内訳や使用目的

**研究組織（研究開発代表者及び研究開発分担者）**

|  |  |  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- | --- | --- |
|  | 氏名（年齢）研究者番号 | 所属研究機関部局職名 | 現在の専門学位（最終学歴）役割分担 | 第1年度研究経費（千円） | エフォート（％） |
| 研究開発代表者 |  |  |  |  |  |
|  |  |
|  |  |
| 研究開発分担者 |  |  |  |  |  |
|  |  |
|  |  |
| 研究開発分担者 |  |  |  |  |  |
|  |  |
|  |  |
| 研究開発分担者 |  |  |  |  |  |
|  |  |
|  |  |
| 研究開発分担者 |  |  |  |  |  |
|  |  |
|  |  |
| 研究開発分担者 |  |  |  |  |  |
|  |  |
|  |  |
| 計2名 | 研究開発経費合計 | X,XXX |  |

**当開発研究に関する協力企業・導出先企業**

|  |  |
| --- | --- |
| 企業名 | 協力内容 |
|  |  |
|  |  |
|  |  |

**１　研究概要と目的**

**【1.1研究開発課題概要】**

|  |  |
| --- | --- |
| 0. 提案時の公募枠 | 　遺伝子治療（ステップ0）　  |
| 1. 研究開発課題名 |  |
| 2. 委託研究開発実施期間 | 年契約締結日～年月日(予定) |
| 3. 委託研究開発費 | 第1年度　　年度第2年度　　年度第3年度　　年度 | 円円円 |
| 4. 研究開発代表者氏名 |  |
| 5. 研究開発代表者所属機関・部署・役職 |  |
| 6. 対象疾患名 |  |
| 7. 対象疾患患者数 |  |
| 8. 研究ステージ（複数選択可） | □ガイドラインへの反映に資する研究　□患者(実態)調査研究　□基盤構築研究　□基礎的研究　□治験外臨床試験　■ステップ0（シーズ選定）□ステップ1（治験準備）　□ステップ2（医師主導治験） |
| 9. ハイライト (①目的、②特色/独創性、③成果達成の可能性、④期待される成果を1文50字以内で記載) ①②③④ |
| 10. 期待される成果（複数選択可） | □医薬品開発　□医療機器開発　□再生医療等製品開発　□診断法開発□エビデンス創出　□原因遺伝子の同定　□バイオマーカーの開発　□病態解明□レジストリ構築　□モデル動物の開発　□その他（　　　　　　　　　　　　　　） |
| 11.研究のキーワード(10以内) | 1(　　　　　　　　　　　) 2(　　　　　　　　　　　) 3(　　　　　　　　　　) 4( 　　　　) 5( 　　　　　 ) 6( )7( 　　　　) 8( 　　　　　 ) 9( )10( 　　　 )  |
| 12．ターゲット・プロダクト・プロファイル | □有り（詳細は下記）□該当せず候補物名（一般名又は化学名）：薬事申請上の分類：□再生医療等製品、□その他（　　　　　　　　　　　　）想定効能・効果：　剤形・用法：　ポジショニング：1. 現在の治療法
2. 既存治療法との優位性
3. 承認取得後の診療ガイドライン等での位置づけ
4. 承認取得後の患者へのメリット

有効性：　安全性上の課題：臨床開発における課題：　 |

**【1.2研究開発全体の内容】**

|  |  |
| --- | --- |
| 1. 概要等 |  |
|  |  |
| （概要図がある場合には以下表外に挿入してください。） |  |

**２　研究計画・方法**

**【2.1研究開発全体像と進捗】**

|  |
| --- |
| 2. 研究開発の主なスケジュール（ロードマップ） |
| 研究開発項目・マイルストン | 担当者氏名 | 第1年度(　　年度) | 第2年度(　　年度) | 第3年度(　　年度) | 達成率 |
| 1Q | 2Q | 3Q | 4Q | 1Q | 2Q | 3Q | 4Q | 1Q | 2Q | 3Q | 4Q |
| （1) ・研究費 |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |
| （2) ・研究費 |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |
| （3）・研究費 |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |
| （4）・研究費  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |
| （5）・研究費 |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |
| （6）・研究費 |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |
| （7）・研究費 |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |  |

**【2.2研究開発項目別　研究開発概要】**

|  |  |
| --- | --- |
| 研究開発項目(1) |  |
| 研究開発担当者 氏名 |  |
| 所属機関・部署・役職 |  |
| **研究開発項目の概要**【結果の研究開発の継続判断への利用】□利用する（以下に判断基準を記載）　□利用しない**マイルストン１**担当者：目的および内容、達成される成果**マイルストン2** 担当者：目的および内容、達成される成果 |

|  |  |
| --- | --- |
| 研究開発項目(2) |  |
| 研究開発担当者 氏名 |  |
| 所属機関・部署・役職 |  |
| **研究開発項目の概要**【結果の研究開発の継続判断への利用】□利用する（以下に判断基準を記載）　□利用しない**マイルストン１**担当者：目的および内容、達成される成果**マイルストン2** 担当者： 目的および内容、達成される成果 |

|  |  |
| --- | --- |
| 研究開発項目(3) |  |
| 研究開発担当者 氏名 |  |
| 所属機関・部署・役職 |  |
| **研究開発項目の概要**【結果の研究開発の継続判断への利用】□利用する（以下に判断基準を記載）　□利用しない**マイルストン１**担当者： 目的および内容、達成される成果**マイルストン2** 担当者： 目的および内容、達成される成果 |

**【2.3体制図】**(研究開発代表者、研究開発分担者、協力企業等の役割を具体的に記載してください)

**連携する学会、厚労省政策研究班等がある場合、その具体的な連携内容について以下に記載してください。**

|  |  |
| --- | --- |
| 学会名、政策研究班名 | 本研究開発提案において連携する内容 |
|  |  |
|  |  |

**【2.4協力体制】**（下記の体制が整備されている際には、詳細を記載してください）

|  |  |
| --- | --- |
| 1. 生物統計家 | □有（詳細：　　）　（主な関与：□研究企画立案から　□統計処理のみ）（保有資格：□責任試験統計家　□統計検定　□その他［　　　　　　　　］）□無（理由：　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　 ） |
| 2．疫学専門家 | □有（詳細：　　）（主な関与：　　）□無（理由：　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　 　　） |
| 3. 知財担当者 | □有（詳細：　　）（実務経験：□特許庁　□企業知財部門　□その他［　　］）□無（理由：　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　 　） |
| 4. ライセンス交渉担当者 | □有（詳細：　　）（保有資格：□弁護士　□弁理士　□その他［　　　　　　　　　　　　　］）□無 |
| 5. 薬事担当者 | □有（詳細：　　）　（実務経験：□PMDA　□企業薬事部門　□その他［　　　　　　　　　　　］）□無（理由：　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　） |
| 6．毒性学専門家 | □有（詳細：　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　 　）（主な関与：　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　 　）□無（理由：　　） |
| 7．臨床薬理専門家 | □有（詳細：　　）（主な関与：　　　）□無（理由：　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　 　） |
| 8．Project manager | □有（詳細：　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　 　）（保有資格：□PMP（PMBOK）□PMS(P2M)　□その他［　　　　　　　　　　］）□無（理由：　　　） |

**【2.5レジストリ･試料のレポジトリについて】**

|  |  |
| --- | --- |
| 1. レジストリ名 |  |
| レジストリ運営母体 |  |
| 対象疾患 |  |
| 目的 | 項目 | □自然歴調査□患者数や患者分布の把握□治験又はその他の介入研究へのリクルート□治験対照群としての活用□製造販売後調査への活用□試料採取□バイオマーカーの探索□遺伝子解析研究□その他 |
| 詳細 |   |
| レジストリ構築・運営に関するプロトコル作成の有無 | □有□無 |
| 予定登録期間 | 　　年　　月　　日（登録開始日）～　　年　　月　　日（登録終了日） |
| 予定実施期間（観察期間を含む） | 年　　月　　日～　　年　　月　　日 |
| 横断的研究/縦断的研究 | □横断的研究□縦断的研究 |
| プロスペクティブ/レトロスペクティブ等 | プロスペクティブ/レトロスペクティブ | 追跡調査の有無 | 調査頻度 |
| □プロスペクティブ□レトロスペクティブ | □追跡調査　有□追跡調査　無 |  |
| 目標症例数 | 　　例□設定していない |
| 登録済み症例数 | 　　例 |
| 参加医療機関 | □単施設□多施設（施設数：　施設） |
| レジストリ情報の参考URL | □有（URL：　　）□無 |
| 本研究終了後のレジストリの運営方針に関する計画 | □有（　　）□未定 |
| 外部からの利用申請に対する対応 |
|  |

|  |  |
| --- | --- |
| 2. 試料のレポジトリ名 |  |
| レポジトリ対象試料の収集目的 |  |
| 試料のレポジトリ構築・運営に関するプロトコル作成の有無 | □有□無 |
| 試料の内容 |  |
| 設置機関 |  |
| 目標サンプル数 | 　　例 |
| 登録サンプル数 | 　　例 |
| 予定設置期間 | 年　　月　　日～　　年　　月　　日 |
| 本研究終了後の試料のレポジトリの運営方針に関する計画 | □有（　　）□未定 |
| バイオバンクへの分譲･寄託 | □有（分譲先：　　　　　　　　　）　　（分譲時期：　　　　　　　　　　）□無 |
| 外部からの利用申請に対する対応（バイオバンクとしての機能） |
|  |

**【2.6知的財産について】**(適宜、知財担当者と相談の上、記載してください。)

|  |  |
| --- | --- |
| 1. 知的財産権の帰属 | □　本研究開発の結果生じた知的財産権を、産業技術力強化法第１９条第１項各号に規定する４項目を「国」をAMEDに読み替えて遵守すること、本研究開発結果に係る発明等を行ったときはAMED指定の様式に則った書面にて遅滞なくAMEDに報告すること及びAMEDが実施する知的財産権に関する調査に回答することを約することを条件として、全て本研究開発の受託者である自らに帰属させることを希望する。 |
| 2. 計画と関連する出願済みおよび出願予定の特許(複数ある場合は、コピーアンドペーストにより適宜表を追加してください。) |
| 出願番号 |  |
| 発明の名称 |  |
| 出願日（優先日） | 年 月 日（特許権残存期間： 年 月） |
| 出願人（特許権者） |  |
| 分類 | □物質　□用途　□製剤　□製法　□診断法　□スクリーニング法□その他（　　　　　　　　　　） |
| 発明者 | □開発責任者　□共同研究者　□国内第三者　□海外第三者 |
| 出願人（特許権者） | □発明者個人　□自機関　□共同研究機関　□国内第三者　□海外第三者 |
| 出願国 | □日本　□PCT（○移行前　○移行済み（移行国： ○米国　○欧州　○その他 （　ケ国） |
| 審査請求（日本対象） | □なし　□あり（　　　年　　月） |
| 成立国 | □日本　□米国　□欧州　□中国　□韓国　□その他 （　　ケ国） |
| ライセンスアウト | □済（○独占的、○非独占的）　□交渉中　□未 |
| 特許権譲渡 | □済（○全譲渡、○部分譲渡）　□交渉中　□未　□予定無し |

**【2.7】倫理面への配慮】**

|  |
| --- |
| 1. 遵守すべき研究に関係する指針等 |
| □　再生医療等の安全性の確保等に関する法律□　臨床研究法□　人を対象とする医学系研究に関する倫理指針□　ヒトゲノム・遺伝子解析研究に関する倫理指針□　遺伝子治療臨床研究に関する指針□　動物実験等の実施に関する基本指針□　その他の指針等(指針等の名称:　　　) |
| 2. 本研究開発期間中に予定される臨床研究の有無 |
| □　有　　□　無※「有」の場合は、予定される内容および倫理委員会の通過状況を記入してください。 |
| 対象疾患 | 予定される内容、実施時期、倫理委員会の通過状況 |
|  |  |
|  |  |
| 3. 中央倫理委員会等での審査または審査の依頼を予定している | □中央倫理委員会等で審査する（機関名：　　　　　　　　　　　　　）□中央倫理委員会等では審査しない　□未定 |
| 4. 人権の保護および法令等の遵守への対応 |
|  |

**【2.8対象製剤・製品等について】**(開発等を行う場合に記載)

|  |  |
| --- | --- |
| 1. 対象製剤・製品またはプロトタイプの名称・内容など | ○○ |
| 2. 対象製剤・製品またはプロトタイプの入手方法 | ○○社より提供済み(非臨床用)○○社より無償提供(MTA締結済み)(臨床用) |
| 3. 薬事承認状況 | 国内外とも、未承認。 |
| 4. 企業協力内容(予定を含む) | 内容 | 予定/確定 | 書面/口頭 | 内容の詳細 |
| □対象製剤・製品等の提供 | □確定□予定 | □書面合意□口頭合意 | ○○○○○○○○○・・・。 |
| □人的リソースの提供 | □確定□予定 | □書面合意□口頭合意 |  |
| □技術提供 | □確定□予定 | □書面合意□口頭合意 |  |
| □非臨床試験または臨床試験の実施 | □確定□予定 | □書面合意□口頭合意 |  |
| □その他（　　　　　　　　　） | □確定□予定 | □書面合意□口頭合意 |  |
| □無 |
| 5. 企業導出見込み | 有無 | 書面/口頭 | 内容の詳細 |
| □有□無 | □書面合意□口頭合意 | POC取得を前提に○○社が薬事申請を行うこと、H31年2月迄に条件を整理し書面にて覚書を締結することの合意を得ている。 |
| 6. 計画実施のため許認可を要する法律の有無 |
| □　有　　□　無※「有」の場合は、該当する法律と対応状況を記載してください。 |
| 該当する法律 | 対応状況 |
| 遺伝子組換え生物等の使用等の規制による生物の多様性の確保に関する法律 | 厚生労働大臣及び環境大臣承認済み(第一種使用等) |
|  |  |
|  |  |
|  |  |
| 7. PMDA事前面談・対面助言 | □面談実施済（内容：事前面談実施済み。対面助言をXX年XX月頃実施予定。）□面談未施行（理由：　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　　）　 |
| 8. オーファン指定制度 | □既に指定を受けている　□申請中または申請を予定している　□申請する予定はない |
| 9. 先駆け審査指定制度 | □既に指定を受けている　□申請中または申請を予定している　□申請する予定はない |

**３　研究業績**

　本提案に関連する政策提言(寄与した指針又はガイドライン等)、学術雑誌等に発表した論文・著書のうち、主なもの・最新のものに絞り、研究開発代表者及び研究開発分担者ごとに直近年度から順に記入してください。特に本提案に直接関連する論文・著書については、著者氏名の名前に「○」を付してください。また、記載いただいた論文・著書は漏れなく関係する必要最小限部分に絞った上で、本文をe-Rad上に「その他必要な提案書類」として添付してください。

**研究開発代表者：**

**研究開発分担者：**

**４　研究費の応募・受入等の状況・エフォート**

研究開発代表者および研究開発分担者が、現在受けている、あるいは申請中・申請予定の国の競争的資金制度やその他の研究助成等について、制度名ごとに、研究課題名、研究期間、役割、本人受給研究費の額、エフォート等を記入してください。記入内容が事実と異なる場合には、採択されても後日取り消しとなる場合があります。

＜注意＞

・現在申請中・申請予定の研究助成等について、本提案の選考中にその採否等が判明するなど、本様式に記載の内容に変更が生じた際は、本様式を修正の上、日本医療研究開発機構戦略推進部難病研究課まで連絡してください。

・他制度への申請書、計画書等の提出を求める場合があります。

**研究開発代表者：**

**（１）応募中の研究費**

|  |  |  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- | --- | --- |
| 資金制度・研究費名（研究期間・配分機関等名） | 研究課題名（研究代表者氏名） | 役割(代表・分担の別) | 平成30年度の研究経費[課題全体の額](千円) | エフォート(%) | 研究内容の相違点及び他の研究費に加えて本応募研究課題に応募する理由 |
| 【本応募研究課題】 |  |  |  |  | （総額　　　） |
|  |  |  |  |  |  |
|  |  |  |  |  |  |

**（２）受入（予定）の研究費**

|  |  |  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- | --- | --- |
| 資金制度・研究費名（研究期間・配分機関等名） | 研究課題名（研究代表者氏名） | 役割(代表・分担の別) | 平成30年度の研究経費[課題全体の額] (千円) | エフォート(%) | 研究内容の相違点及び他の研究費に加えて本応募研究課題に応募する理由 |
|  |  |  |  |  |  |
|  |  |  |  |  |  |

　\*（　）内には、研究開発期間全体の直接経費の総額を記入してください。

**（３）その他の活動　　　エフォート：　％**

**研究開発分担者：**

**（１）応募中の研究費**

|  |  |  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- | --- | --- |
| 資金制度・研究費名（研究期間・配分機関等名） | 研究課題名（研究代表者氏名） | 役割(代表・分担の別) | 平成30年度の研究経費[課題全体の額](千円) | エフォート(%) | 研究内容の相違点及び他の研究費に加えて本応募研究課題に応募する理由 |
|  |  |  |  |  |  |
|  |  |  |  |  |  |
|  |  |  |  |  |  |

**（２）受入（予定）の研究費**

|  |  |  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- | --- | --- |
| 資金制度・研究費名（研究期間・配分機関等名） | 研究課題名（研究代表者氏名） | 役割(代表・分担の別) | 平成30年度の研究経費[課題全体の額] (千円) | エフォート(%) | 研究内容の相違点及び他の研究費に加えて本応募研究課題に応募する理由 |
|  |  |  |  |  |  |
|  |  |  |  |  |  |

　\*（　）内には、研究開発期間全体の直接経費の総額を記入してください。

**（３）その他の活動　　　エフォート：　　％**

**５　これまでに受けた研究費とその成果等**

本欄には、研究代表者及び研究分担者がこれまでに受けた研究費（所属研究機関より措置された研究費、府省・地方公共団体・研究助成法人・民間企業等からの研究費等。なお、現在受けている研究費も含む。）による研究成果等のうち、本研究の立案に生かされているものを選定し、当該資金制度とそれ以外の研究費に分けて、次の点に留意し記述してください。

**研究開発代表者：**

【当該資金制度】

【それ以外の研究費】

**研究開発分担者：**

【当該資金制度】

【それ以外の研究費】