

令和2年度

公募要領 難治性疾患実用化研究事業 [1次公募]

令和元年 11 月

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

目次

I.	1	はじめに	2
-	١.	事業の概要	2
	١.	· 事業の概要····································	
		(1) 事業の現状	
		(3) 事業の月间性	
,	2.		
	٠.	. 事業の構成 (1) 事業実施体制	
		(1) 争未关心体制	
		(- / · · · · · · · · · · · · · · · · · ·	
Η.	J	応募に関する諸条件等	4
1	١.		4
2	2 .	. 応募に当たっての留意事項	4
		(1) 委託研究開発契約について	4
		(2) 府省共通研究開発管理システム (e-Rad) について	4
		(3) jRCT (Japan Registry of Clinical Trials) への登録について	5
		(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)	
111	,	公募・選考の実施方法	6
111	. 3		
	١.	- 23 7 7 7 7 7 7 7 7 7 7 7 7 7 7 7 7 7 7	
2	2 .	***************************************	
		(1) 提案書類様式の入手方法	
		(2) 提案書類受付期間	
		(3) 提案書類の提出	
		(4) スケジュール等	
3	3.		
		(1) 審査方法	
		(2) 審査項目と観点	
2	₽.	. 若手研究者の登用の推進	11
IV.	ŧ	提案書類の作成と注意	12
4	۱.	提案書類等に含まれる情報の取扱い	12
	٠.	(1) 情報の利用目的	
		(2) 必要な情報公開・情報提供等	
9	2.	, , , , , , , , , , , , , , , , , , , ,	
_		- IE	
		(2) 提案書類の作成	
		(3) 提案書類作成上の注意	
		(4) 研究開発提案書以外に必要な書類について	
.,	_		
٧.	3	委託研究開発契約の締結等	15
1	١.	. 委託研究開発契約の締結	15
		(1) 契約条件等	
		(2) 契約締結の準備について	15
		(3) 契約に関する事務処理	15
		(4) 年度末までの研究期間の確保について	
		(5) 委託研究開発費の額の確定等について	15
2	2 .		
		(1) 委託研究開発費の範囲	16
		(2) 委託研究開発費の計上	
		(3) 委託研究開発費の支払い	17

	(4) 費目間の流用	
	(5) 間接経費に係る領収書等の証拠書類の整備について	17
3	. 委託研究開発費の繰越	17
4	. 本事業を実施する研究機関の責務等	17
	(1) 法令の遵守	17
	(2) 研究倫理教育プログラムの履修・修了	17
	(3) 利益相反の管理について	
	(4) 法令・倫理指針等の遵守について	
	(5) 委託研究開発費の執行についての管理責任	
	(6) 体制整備等に関する対応義務	
_		
5		
	(1) 委託研究開発費の公正かつ適正な執行について	
	(2) 応募における手続等	
	(3) 研究倫理教育プログラムの履修・修了	
6		
	(1) 履修対象者・履修プログラム・教材について	
	(2) 履修時期について	
	(3) 研究機関等の役割について	20
	(4) 履修状況の報告について	20
	(5) お問合せ先	20
7	. 利益相反の管理	
	(1) AMEDの「研究活動における利益相反に管理に関する規則」に基づく利益相反管理…	20
	(2) 臨床研究法施行規則第21条に基づく利益相反管理	
	(3) 利益相反管理状況報告書の提出について	
	(4) お問合せ先	
8		
O	(1) 不正行為・不正使用・不正受給の報告及び調査への協力等	
	(1)	
_	— · ·	
9		
	(1) 採択の取消し等について	
	(2) 調査対象者・不正行為認定を受けた研究者の表明保証について	
	(3) 研究開発計画書及び報告書の提出	
	(4) データマネジメントプランの提出	
	(5) 研究費の不合理な重複及び過度の集中の排除	25
٧ī	採択課題の管理と評価	27
1	FIGURE 1	
2	E. 10-	
3	. 成果報告会等での発表	27
VII.	研究開発成果の取扱い	28
1	WINDOWS IN THE TANK T	
2	**** = ***** * * * * * * * * * * * * *	
3	***************************************	
4		28
5		
6	. データの取扱い	28
VIII	取得物品の取扱い	29
1	The Late of the Control of the Contr	
2		
3	. 放射性廃棄物等の処分	29

IX.	その他	30
1	. 国民や社会との対話・協働の推進	30
	. 医学研究・臨床試験における患者・市民参画(PPI)の推進	
	B. 健康危険情報	
4		
5	5. リサーチツール特許の使用の円滑化	31
6	5. 知的財産推進計画に係る対応	
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財コンサルテーション支援	31
8	3. シーズ・ニーズのマッチング支援システム	32
9). 創薬支援ネットワーク及び創薬戦略部による支援	32
	O. AMED における課題評価の充実	
1	1. ナショナルバイオリソースプロジェクト(NBRP)へのリソースの寄託と NBRP で整備されたリン	ノー
	この利用について	
1	2. 各種データベースへの協力	
	(1) バイオサイエンスデータベースセンターからのデータ公開について	33
	(2) 患者レジストリ検索システムへの登録について	33
	(3) 難病プラットフォームの活用について	33
	(4) その他	33
1	3. 研究機器の共用促進に係る事項	33
1	4. 臨床研究法施行に係る対応	34
1	5. 革新的医療技術創出拠点による研究支援	34
Χ.	照会先	35
XI.	公募研究開発課題	
	希少難治性疾患の克服に結びつく病態解明研究分野	
	希少難治性疾患に対する画期的な医薬品の実用化に関する研究分野	
	希少難治性疾患に対する画期的な再生・細胞医療・遺伝子治療の実用化に関する研究分野	
	希少難治性疾患に対する画期的な再生・細胞医療・遺伝子治療の実用化に関する研究分野	
	診療に直結するエビデンス創出研究	
	. 未診断疾患イニシアチブの成果を発展させる研究 <u>(IRUD Beyond)</u> 分野分野	
G.	希少難治性疾患に関する全ゲノム医療の推進等に資する研究分野	60

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にかかる条件や募集内容を記載したものです。

1. 事業の概要

(1) 事業の現状

平成27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50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、令和元年には333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の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。)等を本事業内に配置します。

PS 及び 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 及び PO 等に協力する義務を負います。PS 及び 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や課題の中止(計画達成による早期終了を含む)等を行うことがあります。

* https://www.kantei.go.jp/jp/singi/kenkouiryou/senryaku/suishinplan_henkou.pdf

(2) 代表機関と分担機関の役割等

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、かつ、主たる研究場所^{※1}とし、AMED と直接委託研究 開発契約^{※2}を締結する、次項「Ⅱ.応募に関する諸条件等 1.応募資格者」に示される国内の研究機 関等をいいます。
- (b) 「分担機関」とは、研究開発分担者が所属し、かつ、主たる研究場所^{※1}とし、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」以外の研究機関等をいいます。
- (c) 「研究開発代表者」とは「代表機関」に所属し、事業の実施期間中、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研究者 (1人) をいいます。
- (d) 「研究開発分担者」とは「代表機関」又は「分担機関」に所属し、「研究開発代表者」と研究開発 項目を分担して研究開発を実施し、当該研究開発項目の実施等の責任を担う研究者をいいます。

- (e)「研究開発担当者」とは「代表機関」又は「分担機関」に所属する「研究開発代表者」又は「研究開発分担者」のうち、研究機関を代表する研究者(1人)をいいます。(例:「研究開発代表者」は「代表機関」の「研究開発担当者」となります。)
 - ※1 所属機関と主たる研究場所が異なる場合は、別途ご相談ください。
 - ※2 本事業における各機関との委託研究開発契約の詳細については V. 章を参照してください。

Ⅱ 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、かつ、主たる研究場所^{*1}とし、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)までに掲げる研究機関等
 - (a) 国の施設等機関^{*2} (研究開発代表者が教育職、研究職、医療職^{*3}、福祉職^{*3}、指定職^{*3}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、平成26年6月13日一部 改正)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^{※4}
 - (h) その他 AMED 理事長が適当と認めるもの
 - ※1 所属する研究機関等と主たる研究場所が異なる場合は、別途ご相談ください。
 - ※2 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。
 - ※3 病院又は研究を行う機関に所属する者に限ります。
 - ※4 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こと。

なお、特定の研究機関等に所属していない、もしくは日本国外の研究機関等に所属している研究者にあっては、研究開発代表者として採択された場合、契約締結日又はAMEDの指定する日までに、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、契約締結日又はAMEDの指定する日までに、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。

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。

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 V. 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

府省共通研究開発管理システム(以下「e-Rad」*という。)とは、各府省が所管する公募型研究資金制度の管理に係る一連のプロセス(応募受付→採択→採択課題の管理→研究成果・会計実績の登録受付等)をオンライン化する府省横断的なシステムです。応募に当たっては、事業や各公募研究開発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. 章を参照してください。

※「e-Rad」とは、府省共通研究開発管理システムの略称で、Research and Development (科学技術のための研究開発) の頭文字に、Electronic (電子) の頭文字を冠したものです。

(3) iRCT (Japan Registry of Clinical Trials) への登録について

臨床研究法の施行(平成30年4月1日)により、臨床研究の実施に当たり厚生労働省が整備するデータベース「臨床研究実施計画・研究概要公開システム」jRCT(Japan Registry of Clinical Trials)への登録や疾病等報告などの対応が必要となります。法令遵守の上、適切な対応をお願いします。

臨床研究法施行後に開始される臨床研究については、jRCT 以外の国内臨床研究登録機関のデータベースに重複して登録しないこととしています。「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、既に他の臨床研究登録機関のデータベースに登録している場合は、法令等に従い適切に対応してください。なお、臨床研究法施行に係る対応については、IX. 1 4. 節を参照してください。

(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当たっては、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、国が定める法令・指針・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、法令上の処分・罰則に加えて、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)とリスト規制に該当しない貨物(技術)を輸出(提供)しようとする場合で、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)に提供する場合等や、外国において提供する場合には、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・DVD・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、以下を参照 してください。

〇経済産業省:安全保障貿易管理(全般)

https://www.meti.go.jp/policy/anpo/

〇経済産業省:安全保障貿易管理ハンドブック

https://www.meti.go.jp/policy/anpo/seminer/shiryo/handbook.pdf

〇一般財団法人安全保障貿易情報センター

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

〇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)

https://www.meti.go.jp/policy/anpo/law_document/tutatu/t07sonota/t07sonota_jishukanri03.pdf

ⅡⅠ. 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 XI.章を参照してください。

#		研究開発費の規模	研究開発実施	新規採択課題
			予定期間	予定数
A. 希少勤	推治性疾患の克服に結びつく病態解明研究		T	T
	希少難治性疾患の病態解明研究	1課題あたり年間	最長3年	0~10 課題
A-1	(病態解明)	10,000 千円程度	令和2年度~	程度
		(間接経費を含まず)	令和 4 年度	12/2
	若手研究開発代表者による希少難治性	1課題あたり年間	最長3年	0~10 課題
A-2	疾患の独創的な病態解明研究	8,000 千円程度	令和2年度~	程度
	(病態解明・若手)	(間接経費を含まず)	令和 4 年度	1117
B. 希少第	推治性疾患に対する画期的な医薬品の実用値		T	T
	薬事承認を目指す	1課題あたり年間	最長3年	0~5 課題
B-1	医薬品のシーズ探索研究	30,000千円程度	令和2年度~	程度
	(医薬品ステップ 0)	(間接経費を含まず)	令和 4 年度	1512
	医薬品の治験準備	1課題あたり年間	最長3年	0~9 課題
B-2	(医薬品ステップ1)	90,000千円程度	令和2年度~	程度
	(産業品は、アプラー)	(間接経費を含まず)	令和 4 年度	112/0
	新規化合物を用いた医薬品の治験	1課題あたり年間	最長3年	0~3 課題
B-3-1	(医薬品ステップ2・NME)	120,000 千円程度	令和2年度~	程度
	,	(間接経費を含まず)	令和 4 年度	12/2
	ドラッグ・リポジショニング又は国内未承認	1課題あたり年間	最長3年	0~3 課題
B-3-2	薬を用いた医薬品の治験	90,000 千円程度	令和2年度~	程度
	(医薬品ステップ2・DR)	(間接経費を含まず)	令和 4 年度	任人
C. 糖鎖	異常が関連する希少難治性疾患の克服研究 ?	分野		
	糖鎖異常関連疾患に関する医薬品のシ	1課題あたり年間	最長3年	0 0
C-1	一ズ探索研究	24,000 千円程度	令和2年度~	0~2 課題
	(糖鎖ステップ0)	(間接経費を含まず)	令和 4 年度	程度
		1課題あたり年間		
0.0	糖鎖異常関連疾患に関する体外診断用	16,000 千円程度	最長3年	0~2 課題
C-2	医薬品のシーズ探索研究	(間接経費を含まず)	令和2年度~	程度
	(糖鎖検査ステップ0)		令和 4 年度	
D. 希少到	推治性疾患に対する画期的な再生・細胞医療			I
	薬事承認を目指す再生・細胞医療・遺伝子治	1課題あたり年間	最長3年	0~2 課題
D-1	療のシーズ探索研究	24,000千円程度	令和2年度~	程度
	(再生等ステップ0)	(間接経費を含まず)	令和 4 年度	12/2
	再生・細胞医療・遺伝子治療の治験準備	1課題あたり年間	最長3年	0~1 課題
D-2	(再生等ステップ1)	90,000千円程度	令和2年度~	程度
		(間接経費を含まず)	令和 4 年度	1-/~
	再生・細胞医療・遺伝子治療の治験	1課題あたり年間	最長3年	0~1 課題
D-3	(再生等ステップ2)	120,000千円程度	令和2年度~	程度
		(間接経費を含まず)	令和 4 年度	
E. 診療(こ直結するエビデンス創出研究分野		I	I
	希少難治性疾患の診療に直結するエビ	1課題あたり年間	最長3年	0~20 課題程
E-1	デンス創出研究	11,000 千円程度	令和2年度~	0~20 課題程
	(エビデンス創出)	(間接経費を含まず)	令和 4 年度	
	先進医療 B 又は患者申出療養制度によ	 1 課題あたり年間	最長3年	
E-2	ル 世 区 様 D ス は 志 石 中 山 原 長 向 及 に よ る エ ビ デ ン ス 創 出 研 究	40,000 千円程度	□ 取及3 平 令和 2 年度~	0~1 課題程度
L 2	(先進等エビデンス創出)	(間接経費を含まず)	令和4年度	○ □ 环超性技
			ロルナナ皮	<u> </u>
「. 木衫	が疾患イニシアチブの成果を発展させる研3 	究(IRUD Beyond)分野		<u> </u>
	モデル生物等研究コーディネーティン	1課題あたり年間	最長3年	
F-1	グネットワークによる希少・未診断疾	76,000 千円程度	□ 取長3 平 令和 2 年度~	0~1 課題
11	患の病因遺伝子変異候補の機能解析研	76,000 十円程度 (間接経費を含まず)	□ 〒和 2 年度~ □ 令和 4 年度	程度
	究(モデル生物)	(旧技性貝を召より)	p↑u4十戌	
6 釜小草	推治性疾患に関する全ゲノム医療の推進等I		L	<u>l</u>
u. 1ルンチ	11/11/1/1/11/12 1/11 1/11 1/11 1/11 1/1	- 只 / の 例 / し / 1 エ		

G-1	全エクソームシークエンス解析でも未解決の疾患に対する新技術による診断 法の開発 (全ゲノム1/未解決)	1 課題あたり年間 140,000 千円程度 (間接経費を含まず)	最長3年 令和2年度~ 令和4年度	0~2 課題 程度
G-2	有効な治療法がない希少難治性疾患を 対象とした新世代解析技術による病態 解明と治療シーズ探索につながる研究 (全ゲノム2/マルチオミックス)	1 課題あたり年間 120,000 千円程度 (間接経費を含まず)	最長3年 令和2年度~ 令和4年度	0~5 課題 程度
G-3	難病克服のための成人発症型難病の Deep-Phenotyping の統合解析を通じた 開発研究 (全ゲノム3/成人発症)	1 課題あたり年間 110,000 千円程度 (間接経費を含まず)	最長3年 令和2年度~ 令和4年度	0~2 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、研究費の不合理な重複及び過度の集中 (詳細は V. 9. (5) 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。
- 「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」の研究開発代表者 は、以下の条件を満たす者とします。

令和2年4月1日時点において、年齢が、男性の場合は満40歳未満の者(昭和55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52年4月2日以降に生まれた者)、又は博士号取得後10年未満の者が対象です。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ます。

2. 研究開発提案書等の作成及び提出

(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。 https://www.amed.go.jp/koubo/

(2) 提案書類受付期間

令和元年11月6日(水)~令和元年12月5日(木)【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注意してください。
- (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注意してください。
- (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)。
- (注4) 提出書類に不備がある場合は、不受理となる場合があります。

(3) 提案書類の提出

提案書類の提出は、受付期間内に e-Rad にてお願いします。提出期限内に提出が完了していない場合は応募を受理しません。研究開発提案書等の記載(入力)に際しては、本項目及び研究開発提案書(様式1)に示した記載要領に従って、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) e-Rad 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 (https://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。e-Rad の利用規約に同意の上、応募してください。

1) 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、「代表機関」(研究開発代表者が所属する研究機関)、「分担機関」(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に 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。研究機関で 1 名、e-Rad に関する事務代表者を決めていただき、e-Rad ポータルサイトから研究機関登録申請の様式をダウンロードして、郵送で申請を行ってください。登録まで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、他省庁等が所管する制度・事業の応募の際に再度登録する必要はありません。(既に他省庁等が所管する制度・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おいては、別途、提出前に事業担当課室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

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、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 e-Rad 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、文部科学省の e-Rad 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) e-Rad 上で提出するに当たっての注意

1)ファイル種別

作成した申請様式ファイルは、PDF 形式でのみアップロード可能となっています。 (e-Rad には、WORD や一太郎ファイルの PDF 変換機能があります。また、お使いの PC で利用できる PDF 変換ソフトのダウンロードも可能です。PDF 変換に当たって、これらの機能・ソフトの使用は必須ではありませんが、使用する場合は、使用方法や注意事項について、必ず研究者向け操作マニュアルを参照してください。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 ファイルの内容を必ず確認してください。

2)ファイル容量

アップロードできる1ファイル当たりの最大容量は10 MBです。

3) 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。

4) 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。

5) 受付状況の確認

提案書類の受理確認は、e-Rad の「提出済の研究課題の管理」画面から行うことができます。研究者による応募申請の提出後、申請の種類(ステータス)が「研究機関処理中申請中」となりますが、この表示は研究機関による承認が未済の状態を意味します。研究機関の承認の手続きが済むと申請の種類(ステータス)が「配分機関処理中申請中」となります。そして、配分機関(AMED)が受理しますと「受理済」となります。受付期間終了時点で、「配分機関処理中申請中」又は「受理済」となっていない提案書類は無効となります。受付期間終了時までに研究者による応募申請の提出と研究機関事務代表者による承認が行われたにもかかわらず、これらのステータスにならなかった場合は、事業担当課室まで連絡してください。なお、応募期間中に、e-Rad のシステムに不具合があった場合(応募期間締め切り直前にアクセス集中のため不具合が発生する場合もあります。)には、e-Rad のログイン後の画面「配分機関・システム管理者からのお知らせ」や、AMED ウェブサイトのトップページに、関係情報が掲載される場合がありますので、その内容を確認してください。

6) 提出後の提案書類の修正

一度、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。

7) 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、確認してください。

(c) e-Rad の操作方法に関する問合せ先

e-Rad の操作方法に関する問合せは、e-Rad ポータルサイトのヘルプデスクにて受け付けます (X. 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、ヘルプデスクでは公募要領の内容、審査状況、採否に関する問合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、<u>公募開始時点で以下のとおり予定しています</u>。審査の実施 方法の詳細は III. 3. 節を参照してください。

書面審査 令和元年12月上旬~令和元年12月下旬(予定)

面接(ヒアリング) 令和2年1月29日、1月30日、1月31日(予定) ※必要に応じて実施

- (注1) ヒアリングを実施する場合は、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の 1 週間前までに電子メールにてご連絡します(ヒアリング対象外の場合や、ヒアリング自体が実施されない場合には連絡しませんので、採択可否の通知までお待ちください)。ヒアリングの実施や日程に関する情報更新がある場合は、III. 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、併せてご参照ください。ヒアリングの対象か否かに関する個別回答はしかねます。
- (注2) 研究開発代表者に対して、書面審査の過程で生じた照会事項を電子メールで送付する場合があります。当該照会事項に対する回答は、照会時に AMED が指定する期日までに AMED が指定する方法で速やかに回答してください
- (注3) ヒアリングの対象者は原則として研究開発代表者とします。ヒアリングの日程は変更できません。
- (注4) ヒアリング終了後、必要に応じて、研究開発代表者に対して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。

採択可否の通知 令和2年2月下旬(予定)

(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 令和2年4月1日

(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、公募要領の他の記載の取扱いと同じく、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 との調整等を速やかに実施し、早期の契約締結等に努めます。

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、AMED の「研究開発課題評価に関する規則」に基づき、 実施の必要性、目標や計画の妥当性を把握し、予算等の配分の意思決定を行うため、外部の有識者等の中 から AMED 理事長が指名する評価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面審査及び必要に応じて面接(ヒアリング)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、審査結果等を踏まえ、研究開発代表者に対して、目標や実施計画、実施体制等の修正*を求めることや、経費の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、計画等の妥当性について、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 VI. 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。(ウェブサイトへの掲載等の詳細は、IV. 章も参照してください。)
- (g)公正で透明な評価を行う観点から、AMED の「課題評価委員会の委員の利益相反マネジメントの取扱いに関する細則」に基づき、評価委員の利益相反マネジメントを行います。評価委員が以下に該当する場合は、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、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 (PD)、PS、PO、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。
- (i) 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*1、再生医療等*2及び医療機器*3 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。詳細については、以下を参照してください。

- X 1 https://www.amed.go.jp/koubo/iyakuhin_check.html
- % 3 https://www.amed.go.jp/koubo/medical_device_check.html
- (j) AMED における過去の関連課題の中間・事後評価結果の活用について

本事業においては、応募した者が過去に AMED から受けた研究費のうち、今回の提案課題の立案に生かされた研究開発課題の中間評価結果や事後評価結果を踏まえて、提出された提案書類の審査を行う場合があります。

(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と、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に関する国の方針に合致するものであるか
 - ・医療分野の研究開発の進展に資するものであるか
 - ・新技術の創出に資するものであるか
- (c) 計画の妥当性
 - ・全体計画の内容と目的は明確であるか
 - 年度ごとの計画は具体的なもので、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

(d) 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
- ・現在の技術レベル及びこれまでの実績は十分にあるか
- ・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/過度の集中は無いか
- (e) 所要経費
 - 経費の内訳、支出計画等は妥当であるか
- (f) 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

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ます。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。

さらに、事業によっては、将来、若手研究者自身が研究開発代表者となって独自に研究が推進できるように、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、若手研究者が当該事業に積極的に応募されることを期待しますが、教授、研究指導者等の下で若手研究者がその研究の一部を担うような研究の場合、若手研究者自身の独創的なアイディアを加え、一定の独立性をもってすすめられる課題を優先します。

なお、若手育成枠における研究開発代表者の定義については、Ⅲ.1.節を参照してください。

IV. 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、IX. 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やマクロ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) 採択された個々の課題に関する情報(事業名、研究開発課題名、研究開発代表者の所属研究機関・役職・氏名、e-Rad 課題/研究者/研究機関番号、予算額、実施期間、研究概要もしくは要約及び委託研究開発成果報告書(公開情報)) **1は、整理・分類し AMED のウェブサイト、AMED 研究開発課題データベース(AMED find) 及び AMED が協定等に基づく協力関係を有する研究資金配分機関等が運営する公的データベース(World RePORT*2等)から公開します。加えて、申請された課題すべてについて、マクロ分析に必要な情報は AMED において分析し、その分析結果については、関係府省や研究資金配分機関等に提供されて公表される他、ファンディング情報のデータベース等*3に掲載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)、会計実績情報及び競争的資金に係る間接経費執行実績情報等の e-Rad への入力をお願いします。
 - ※1「独立行政法人等の保有する情報の公開に関する法律」(平成13年法律第140号)第5条第1号イに定める「公にすることが予定されている情報」として取り扱います。また、研究開発課題の採択後に作成する研究開発計画書の公開指定部分、契約項目シートに記載される上記の項目についても同様の扱いになります。
 - ※2 World RePORTとは

主要国の研究資金支援機関が支援している国際連携研究を対象としたデータベースです。従来確認が困難であった各国が行っている国際的な研究連携を可視化する事を目的としています。管理・運営は米国国立衛生研究所(NIH)が行っており、NIH、英国医療研究評議会(MRC)、ビル&メリンダ・ゲイツ財団(BMGF)、欧州委員会(EC)、カナダ健康研究機関(CIHR)、ウェルカムトラストなど、世界中の12の研究資金提供機関の情報が現在登録されています。https://worldreport.nih.gov/app/#!/about

※3 データベース等には、World RePORT 等が含まれます。

- (b) 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」とします。簡潔かつ明瞭に各項目を記載してください。提案書類受付期間及び提出に関しては、III.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ご覧ください。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。

- (a) 研究開発提案書は、原則として日本語での作成ですが、要約については、日本語と英語の両方の記載が必須となります。記載漏れなど不備がある場合は、審査対象外となることがあります。
- (b) 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。
- (c) 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。
- (d) 英数字は、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、人数等)
- (e)提案書類は、下中央にページ番号を付与してください。
- (f)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) 法令・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 V. 4. (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了承を得てください。

(c)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」等の相談業務のうち、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XI.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(「レギュラトリーサイエンス戦略相談」等 PMDA の相談業務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になります(受けるべき時期等、詳細は VI. 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^{※1}では、治験計画書やプロトコール^{※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、研究体制等の情報を含む)等の臨床試験に関する資料等(様式自由;応募時点で未実施の場合は案で可)を添付していただきます。詳細は XI. 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。

※1 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 プロトコール作成に当たっては、以下を適宜参考にしてください。 (例示のため、すべての臨床研究を網羅するものではありません。)
 - ・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
 - ・(公財)神戸医療産業都市推進機構 医療イノベーション推進センター(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>)

https://www2.tri-kobe.org/support/download/protocol_summary2.pdf

(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 日厚生労働省大臣官房厚生科学課長通知、平成 27 年 2 月 20 日一部改正)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。

V. 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、PO 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(計画達成による早期終了を含む)等を行うことがあります。

PS、PO 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 の求めに応じて国による検査や AMED による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、研究開発課題を実施する機関は、

- (a) 全体研究開発計画書、研究開発計画書及びその他契約に必要な書類※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、受託研究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元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。その他契約に必要な書類(計画書様式等)は、採択後に別途ご連絡します。

(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。

https://www.amed.go.jp/keiri/index.html

(4) 年度末までの研究期間の確保について

年度末まで研究開発を実施することができるよう、委託研究開発実績報告書の AMED への提出は、委託研究開発実施期間の終了日から起算して 61 日以内に行っていただくこととしています。各研究機関は、この対応が、年度末までの研究期間の確保を図ることを目的としていることを踏まえ、機関内において必要な体制の整備に努めてください。

(5) 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確定検査により、委託研究開発費の額の確定を行います。確定検査等において、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 (V.8. (2) 項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の「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	
		7 - 11	
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	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	
	金	費	
		謝金:講演依頼、指導・助言、被験者、通訳・翻訳、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、ライセンス料、不課税取引等に係る消費税相	
		当額等	
間接経費※2	※2 直接経費に対して一定比率(30%目安)で手当され、当該委託研究院		
	施に伴う研究	伴う研究機関の管理等に必要な経費として研究機関が使用する経費	

- X 1 https://www.amed.go.jp/keiri/index.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。また、一定比率は30%を超えることはありません。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。

なお、手形決済、相殺決済、ファクタリングは認められません。

- https://www.amed.go.jp/keiri/index.html
- (注1) 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、「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」を用いることが出来ます。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/program/kenkyu_unyo.html)を参照してください。なお、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。
- (注2) 計算機利用に係る研究費負担を軽減し、研究加速に向けて研究費の効果的運用を目的として、AMED 事業の全ての研究開発課題は、東北大学東北メディカル・メガバンク機構に設置する電算資源(スーパーコンピュータ)の供用サービスを、特別料金で利用できるようにしています。利用を計画している場合は、「東北大学東北メディカル・メガバンク機構スーパーコンピュータシステム利用料内規」を(https://sc.megabank.tohoku.ac.jp/wp-content/uploads/2019/04/uses_fee_20190401.pdf)を参考に費用を計上してください。

(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) 費目間の流用

費目(大項目)ごとの当該流用に係る額が当該年度における直接経費の総額の 50% (この額が 500 万円に満たない場合は 500 万円) を超えない場合には、研究開発計画との整合性あるいは妥当性があることを前提として AMED の承認を経ずに流用が可能です。詳細は、AMED「委託研究開発契約事務処理説明書」**にて確認してください。

https://www.amed.go.jp/keiri/index.html

(5) 間接経費に係る領収書等の証拠書類の整備について

「競争的資金の間接経費の執行に係る共通指針」(平成26年5月29日改正 競争的資金に関する関係府省連絡会申合せ)に示されている使途透明性の確保の観点から、適正な執行を証明する証拠書類を整備し、事業完了の年度の翌年度から5年間適切に保存してください。なお、毎年度の間接経費に係る使用実績については、翌年度の6月30日までに間接経費執行実績報告書の提出が必要となります。詳細は、AMED「委託研究開発契約事務処理説明書」※にて確認してください。

X https://www.amed.go.jp/keiri/index.html

3. 委託研究開発費の繰越

事業の進捗において、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」*にて確認してください。

* https://www.amed.go.jp/keiri/index.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を鑑み、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(ねつぞう)、改ざん及び盗用をいい、それぞれの用語の意義は、以下に定めるところによります。
 - ア 捏造: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ィア、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。
 - * 上記の定義において、「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

不正行為等を未然に防止する取組の一環として、AMED は、本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、研究者に対する研究倫

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 V. 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」又は 臨床研究法施行規則第 21 条に基づき、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 V. 7. 節及び AMED のウェブサイトをご覧ください。

(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当たって、相手方の同意・協力を必要とする研究開発、個人情報の取扱い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、当該法令等に基づく処分・罰則の対象となるほか、研究停止や契約解除、採択の取消し等を行う場合がありますので、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ください。

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、各年度の終了後又は 委託研究開発課題終了後 61 日以内に、委託研究開発実績報告書記載事項の一つとして報告を行っていただ きます。

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、最新の改正にて確認してください。

- 〇 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)
- 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)
- 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)
- 〇 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)
- 臨床研究法(平成 29 年法律第 16 号)
- 特定胚の取扱いに関する指針(平成31年文部科学省告示第31号)
- 〇 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)
- 〇 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)
- 〇 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)
- 〇 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)
- 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)
- 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)
- 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)
- 〇 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)
- 〇 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)
- 〇 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)
- 〇 臨床研究法施行規則(平成 30 年厚生労働省令第 17 号)
- 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)
- 人を対象とする医学系研究に関する倫理指針(平成29年文部科学省・厚生労働省告示第1号)

- 〇 遺伝子治療等臨床研究に関する指針(平成27年厚生労働省告示第344号)
- 〇 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)
- 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 日厚生労働省大臣官房厚生科学課長通知、平成 27 年 2 月 20 日一部改正)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 日農林水産省農林水産技術会議事務局長通知)
- 〇 遺伝資源の取得の機会及びその利用から生ずる利益の公正かつ衡平な配分に関する指針 (平成 29 年 財務省・文部科学省・厚生労働省・農林水産省・経済産業省・環境省告示第 1 号)
 - ※ 生命倫理及び安全の確保について、詳しくは以下の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」 https://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」 https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/hokabunya/kenkyujigyou/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) 体制整備等に関する対応義務

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)、厚生労働省大臣官房厚生科学課長決定)、「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

(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

本事業に参画する研究者等は、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 V. 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、留意してください。

6. 研究倫理プログラムの履修等

(1) 履修対象者・履修プログラム・教材について

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については、以下のいずれかのプログラム・教材を履修させてください。

・事例から学ぶ公正な研究活動 ~気づき、学びのためのケースブック~

(日本医療研究開発機構)

- ・APRIN e ラーニングプログラム (eAPRIN)
- 「科学の健全な発展のために一誠実な科学者の心得一」 (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

また、臨床研究法においては、研究責任医師及び分担研究医師は、求められる責務に応じて当該臨床研究を適正に実施することができるよう、研究に関する倫理並びに研究の実施に必要な研究手法等の知識及び技術に関して、十分な教育及び訓練を受けていなければならないこと、とされています。対象となる研究者は、以下のいずれかを必ず受講してください。

- ①臨床研究に従事する者を対象とした臨床研究中核病院が実施する研修
- ②上記に準ずるものとして研究機関が認めるもの(臨床研究中核病院以外の機関で実施されるものも含む)
- (注1) 単なる学術集会への参加のみは教育訓練に該当しません。
- (注2) APRIN e ラーニングプログラム(eAPRIN)、臨床試験のための e-Training center (日本医師会治験促進センター)、ICR 臨床研究入門等の一定の質が担保された e-learning も②に該当し得るものですが、研究責任医師が確実に受講し、内容を理解していることが必要です。

(2) 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)。

(3) 研究機関等の役割について

研究機関等は、自己の機関(再委託先を含む。)に属する上記(1)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。

(4) 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:令和2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 : 令和3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。)

U R L: https://www.amed.go.jp/kenkyu_kousei/kyoiku_program.html

提出方法及び提出先は、AMED ウェブサイトの「研究公正」の「研究倫理教育プログラム」のページ (上記 URL) に令和2年3月頃に掲載します。

(5) 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) AMED の「研究活動における利益相反に管理に関する規則」に基づく利益相反管理
 - (a) 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「研究開発に当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。

(b) 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。

(2) 臨床研究法施行規則第21条に基づく利益相反管理

法令に基づいて利益相反管理を実施してください。

(3) 利益相反管理状況報告書の提出について

各研究機関等は、各年度終了後又は委託研究開発契約の終了後 61 日以内に、利益相反管理状況報告書を 作成して提出してください。

利益相反管理状況報告書の様式、提出方法及び提出先等は、AMED ウェブサイトの「研究公正」の「研究 開発における利益相反管理」のページに令和2年1月頃に掲載します。

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

(4) お問合せ先

利益相反管理に関するお問合せは、kenkyuukousei AT "amed.go.jp へ電子メールでお送りください("AT "の部分を@に変えてください)。

- * 利益相反管理の詳細については、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
 - 利益相反管理状況報告書

https://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) 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、「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 日科発 0116 第 1 号厚生科学課長決定、平成 29 年 2 月 23 日最終改正)、「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 日厚生労働省大臣 官房厚生科学課長決定、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」に則り、速やかに当該予備調査を開始したことを 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留意してください。

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」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。報告書に盛り込むべき事項等、詳しくは 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」を参照してください。

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。

(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、「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 日科発 0116 第 1 号厚生科学課長決定、平成 29 年 2 月 23 日最終改正)、「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 日厚生労働省大臣 官房厚生科学課長決定、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」に基づき、研究機関及び研究者に対して、以下の措置を行います。

(a)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。研究機関には、返還に当たって、返還に係る委託研究開発費の受領の日から納付の日までの日数に応じ、加算金を支払っていただきます。なお、この加算金は、当該委託研究開発費の額(その一部を納付した場合におけるその後の期間については、既納額を控除した額)につき年 10.95%の割合で計算した額の範囲内で AMED により定めるものとします。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。

(b) 申請及び参加資格の制限

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以下の表のとおり、AMEDの事業への申請及び参加資格の制限を行います。

また、本事業において、不正行為等が認定され、申請及び参加資格の制限が講じられた場合、関係府省に申請及び参加資格制限の実施を行う旨を報告します。これにより、関係府省等の研究資金制度等において、同様に、申請及び参加資格が制限される場合があります。

【不正行為の場合】

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の内容等を勘案して相当と認められる期間

不正	行為に係る資	資格制限の対象者	不正行為の程度	資格制限期間
	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
不正行為に関	為があっ	者又はこれらのものと同等の責任を	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
与した者			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27 与した者	を除く不正行為に関		2~3年
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)		係る論文等の責任を	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】

AMED が措置を決定した日以降で、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等を勘案して相当と認められる期間

大工住田五式大工妥处办由家 生	次 #45 生117日 廿088
不正使用及び不正受給の内容等	資格制限期間
	2012 11312073113

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

- ※1 以下の場合は、資格制限を課さず、厳重注意を通知する。
- ・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場合
- ※2 6については、善管注意義務を有する研究者の義務違反の程度を勘案して定める。

(c) 他の研究資金制度で申請及び参加資格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申請及び参加資格の制限が行われた研究者については、その期間中、本事業への申請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申請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、当該研究者の本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。

(d) 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。

(e) 不正事案の公表

本事業において、上記(a)及び(b)の措置・制限を実施するときは、「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日科発0116第1号厚生科学課長決定、平成29年2月23日最終改正)、「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日厚生労働省大臣 官房厚生科学課長決定、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」等に従い、原則、当該措置の内容等を公表します。また、同様に関係府省においても公表することがあります。

(3) AMED RIOネットワークへの登録について

研究公正活動を効率的に推進するに当たりましては、AMEDと研究機関、あるいは研究機関同士が情報を交換し、互いに協力しあって推進していくことが重要だと考えられます。そこで、全国的に効率的な研究公正活動を推進するために、AMEDから研究資金の配分を受けている研究機関の研究公正関係者が気軽に情報交換ができる場を提供すべく、RIO(Research Integrity Officer)ネットワークを平成29年度に設立しました。RIOネットワークについて、詳しくは以下のウェブサイト*を参照してください。

* https://www.amed.go.jp/kenkyu_kousei/rionetwork.html

AMED 事業に参画する研究機関の研究倫理教育責任者及びコンプライアンス推進責任者(両者を合わせて研究公正責任者と呼びます)には、RIO ネットワークのメンバーになっていただきます。

契約の際に提出する「経費等内訳・契約項目シート」の中に、研究倫理教育責任者及びコンプライアンス推進責任者に関する情報を記入する欄がありますので、必ず記入してください。研究公正責任者のRIO

ネットワークへの登録は、AMED が行います。なお、上記以外で、研究公正関連業務に携わっている担当者を RIO ネットワークに登録する場合は、AMED の RIO ネットワークのウェブサイトの案内にしたがって実施するようお願いします。

- 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

採択後において、以下の場合においては、採択の取消し等を行うことがあります。

- ・AMED が指示する提出物の提出期限を守らない場合
- ・当該研究開発課題に参加する研究者について、一定期間申請・参加資格の制限がされた場合
- ・不正行為等に関する本調査が開始された場合
- ・採択において条件が付与された場合において、最終的にその条件が満たされなかった場合
- ・公募における要件が満たされていなかったことが判明した場合 等
- (2) 調査対象者・不正行為認定を受けた研究者の表明保証について

代表機関は、委託研究開発契約の締結に当たって、以下の(a)から(c)について表明保証する必要がありますので、留意してください。

- (a) 研究機関において、本事業の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**又は 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」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(ただし、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・参加資格の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・参加資格の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又は 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」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上、当該研究機関に所属する研究開発代表者及び分担者(再委託先がある場合には、再委託先に所属する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を含む。)に含まれる場合には、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
 - * 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。この第三者について、以下「委託先」といいます。)している場合には、(a)については、当該研究機関は、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。
 - ※ この項目における「国の不正行為等対応ガイドライン」とは、国が策定するその他の不正行為等への対応に関する指針 及びガイドラインを総称していいます。
- (3) 研究開発計画書及び報告書の提出

採択課題については、研究開発計画書及び報告書を含む成果物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) データマネジメントプランの提出

採択課題については、研究開発代表者から、採択後の委託研究開発契約締結の際にデータマネジメントプランを AMED に提出*していただきます。

- ※ データマネジメントプランの提出は、公的資金により行われる研究開発課題でデータを整理・体系化(データベース化)する必要があるものについて、AMEDが研究データの所在等を把握することにより、マネジメント機能又は触媒機能を強化し、可能な範囲で異なる研究開発課題間での連携促進や二重研究開発の回避等に役立てる等のため行うものです。
- ※ データマネジメントプランには、事業年度、事業名、研究開発課題名、研究から産出されるデータ及びデータ群の総 称、研究開発データの説明、データサイエンティストの所属・氏名等、リポジトリ(保存場所)その他必要事項等を記 載していただきます。様式を採択後に別途ご連絡します。
- ※ 記載事項のうちデータサイエンティストの氏名・所属については、希望しない場合を除いて他の課題情報とともに公開することとしています。
- ※ 公募研究開発課題により、応募時にデータマネジメントプランの提出を求めることがあります。詳細はXI. 公募研究開発課題をご確認下さい。
- ※ AMED ウェブサイト https://www.amed.go.jp/koubo/datamanagement.html

(5) 研究費の不合理な重複及び過度の集中の排除

(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開発課題(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以下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。

- ・実質的に同一(相当程度重なる場合を含む。以下同じ)の研究開発課題について、複数の競争的資金制度に対して同時に応募があり、重複して採択された場合
- ・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開発課題について、重ねて応募があった 場合
- 複数の研究開発課題の間で、研究費の用途について重複がある場合
- 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、以下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。

- ・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
- ・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
- ・不必要に高額な研究設備の購入等を行う場合
- 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、本事業への提案書類の提出後に、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 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。

(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、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応募・受入状況(制度名、研究開発課題名、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。

VI. 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、委託研究開発契約に基づき、委託研究開発成果報告書の提出を求めます。また、PS、PO 等が進捗管理を行います。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、委託研究開発の契約以前に実施されたものであっても、進捗管理の観点で確認をすることがあります。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いきます。なお、研究開発計画書等と照らし合わせて、<u>進捗状況により、計</u>画の見直しや課題の中止(早期終了)等を行うことがあります。

加えて、実用化段階に移行する研究開発課題(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」等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*1、2に対面助言を受けていただくことになります。さらに研究開発期間中、適切な情報管理の下、レギュラトリーサイエンス戦略相談等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。

- ※1 臨床試験(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。
- ※2 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。

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^{※3}では、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)等の臨床試験に関する資料等を提出し ていただきます。

※3 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、事業等の推進に当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、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。

そのため、評価結果によっては、PS、PO等の総合的な判断によりAMEDが課題の中止(早期終了)や延長等を行うことがあります。

さらに、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。また、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。

※ 5年以上とは、ここでは年度をいう。

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、ご協力をお願いします。

VII. 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、研究開発成果報告、知的財産や成果利用 に関する事項を遵守することが研究機関に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

研究機関は、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。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ますので、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成果の概要を含む一部の項目は、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、特許出願前の情報、特許出願中の内容であって未公開の情報、ノウハウ等営業秘密、その他未公開情報については、報告書の様式に沿って非公開対象の箇所に記載してください。さらに、複数年度にわたる研究開発課題が終了した際の最終的な成果報告書についても、事後評価の際に研究開発代表者がとりまとめる報告書のうち、様式に沿って公開対象の箇所に記載された内容を、適切な時期に AMED ウェブサイトにて公開します。

2. 研究開発成果の帰属

研究開発成果に係る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)第 17 条に規定される要件を満たすことを前提に、研究機関に帰属させることとします(バイ・ドール規定)。バイ・ドール規定の目的は、知的財産権の研究機関への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、研究機関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。また、研究開発成果や当該研究開発成果に係る知的財産権を、国内の子会社から国外の親会社に承継する場合は、事前にご相談ください。

3. 研究開発成果の実用化に向けた措置

研究機関におかれましては、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、研究機関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、研究機関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 IX. 6. 節を参照してください)。

 $\mbox{\%}$ https://www.amed.go.jp/chitekizaisan/chizai_policy.html

4. 医療研究者向け知的財産教材

研究機関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向け知的財産教材を AMED ウェブサイト*で公開しています。研究を実施する前に、研究者等が知的財産教材を閲覧することを強く推奨しています。

* https://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

研究機関は、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(取得データ等を含む)のオープンアクセスを確保するよう努めてください。

6. データの取扱い

研究開発の結果得られたデータ等に関しては、令和2年度以降の委託研究開発契約書に記載予定の「データの取扱い」に従った取扱いを行っていただきますよう、お願いいたします。

VIII. 取得物品の取扱い

1. 取得物品の帰属

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^{**2}するものとします。

企業等^{※3}による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。なお、当該期間中は、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。

- ※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、公立大学法人、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 委託費で取得した物品を大学等に帰属させる場合は、「受託研究規程」等の提出が必要となります。
- ※3「企業等」とは、「大学等」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、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 AMED による評価額にて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。)

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、研究機関の責任において処分してください。

IX. その他

本項目は、各事業において、特記事項として条件が付されない限り、評価に影響するものではありませんが、それぞれの重要性から、積極的な取組等を AMED として求めるものです。研究機関及び研究者におかれましては、その趣旨を十分にご理解いただき、研究開発に取り組んでいただきますようお願いします。なお、これらの取組の結果については、今後の AMED 事業運営に資するため、研究動向の分析等に利用させていただくとともに、研究開発課題が特定されない形(例:事業やプログラムごとの単位等)で分析結果を公開させていただく場合があるため、委託研究開発成果報告書への記載を求めています。

1. 国民や社会との対話・協働の推進

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。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。また、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、研究成果に関しての市民講座、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. 医学研究・臨床試験における患者・市民参画(PPI)の推進

AMED は、患者さん一人一人に寄り添い、その「LIFE(生命・生活・人生)」を支えながら、医療分野の研究成果を一刻も早く実用化し、患者さんやご家族の元に届けることを使命としています。このことに鑑み、医学研究・臨床試験における患者・市民参画^{*1}(PPI: Patient and Public Involvement)の取組を促進します。この取組により、患者等にとってより役に立つ研究成果の創出や研究の円滑な実施、被験者保護の充実等が期待されます。以上のことから、医学研究・臨床試験における患者・市民参画に積極的に取り組むようお願いします。なお、「医学研究・臨床試験」のうち当面、主として人を対象とした、医師主導治験・介入研究・観察研究(非介入研究)等における取組を推進します。

- ※1 AMEDにおける「医学研究・臨床試験における患者・市民参画」の定義 医学研究・臨床試験プロセスの一環として、研究者が患者・市民の知見を参考にすることとしている。 また、ここでいう「患者・市民」とは、患者、家族、元患者(サバイバー)、未来の患者を想定している。
- (参考) AMED における「医学研究・臨床試験における患者・市民参画」 https://www.amed.go.jp/ppi/index.html

3. 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します。

- 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。

なお、AMED 研究開発課題データベース(AMEDfind)では、研究者名から researchmap へのリンクを行っています。

% 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。なお、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、国際標準化活動をさらに活性化するために、認証の戦略的活用を促進することが記載されたので、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にしています。

このため、本事業において、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お願いします。

※1 知的財産推進計画2014

https://www.kantei.go.jp/jp/singi/titeki2/kettei/chizaikeikaku20140704.pdf

(該当箇所抜粋)

- 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財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及び AMED 知財リエゾン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先行文献調査等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 知財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 については以下のウェブサイト *2 を参照してください。

- ※1 AMED 知財リエゾン https://www.amed.go.jp/chitekizaisan/chizai_riezon.html
- Medical IP Desk https://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のマッチングを早期の段階で支援するための非公開情報ネットワークシステム「AMEDぷらっと」を、平成30年4月より稼働しました。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。そのため、医療分野の研究シーズについて積極的に当該システムへの登録をお願いいたします。なお、AMEDぷらっと利用開始等の詳細については、AMEDぷらっとウェブサイト※を参照してください。

※ AMEDぷらっとウェブサイト https://www.amed.go.jp/chitekizaisan/amed_plat.html

9. 創薬支援ネットワーク及び創薬戦略部による支援

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 創薬戦略部(以下「創薬戦略部」という。)が本部機能を担い、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、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、創薬戦略部に情報 提供を行います(IV. 1.節を参照してください)。なお、創薬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戦略部による支援に関する照会先は、X. 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の実施を目指して、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 の評価委員等としてのご協力をお願いすることがあります。

1 1. ナショナルバイオリソースプロジェクト (NBRP) へのリソースの寄託と NBRP で整備されたリソース の利用について

本事業の実施者は、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、ライフサイエンス分野における研究に資するよう、当該バイオリソース(NBRP*1で対象としているバイオリソースに限る)を NBRP の中核的拠点*2へ寄託*3し、広く研究者の利用に供するとともに、NBRP で既に整備されているバイオリソースについては、本事業の効率的な実施等の観点からその利用を推奨します。

- X 1 NBRP: https://www.amed.go.jp/program/list/04/01/002.html
- ※2 NBRP 中核拠点 代表機関一覧:http://nbrp.jp/center/center.jsp
- ※3 当該リソースに関する諸権利は移転せずに、NBRPにおける利用(保存・提供)への利用を認める手続です。寄託同意書で提供条件を定めることで、利用者に対して、用途の制限や論文引用等の使用条件を付加することができます。

12. 各種データベースへの協力

(1) バイオサイエンスデータベースセンターからのデータ公開について

バイオサイエンスデータベースセンター (NBDC) (https://biosciencedbc.jp/) は、様々な研究機関等によって作成されたライフサイエンス分野データベースの統合的な利用を推進するために、平成23年4月に独立行政法人科学技術振興機構(現:国立研究開発法人科学技術振興機構)に設置されたものです。「ライフサイエンスデータベース統合推進事業の進捗と今後の方向性について」(平成25年1月17日)では、同センターが中心となってデータ及びデータベースの提供を受ける対象事業の拡大を行うこととされています。

これらを踏まえ、本事業により得られる次の種類のデータ及びデータベースについて、同センターへの データ提供や公開にご協力をお願いします。

No.	データの種類	公開先	公開先 URL
1	構築した公開用データベースの概要	Integbio データベ ースカタログ	https://integbio.jp/ dbcatalog/
2	論文発表等で公表した成果に関わるデータの複製物、又は構築した公開用データベースの複製物	生命科学データベ ース アーカイブ	https://dbarchive.bi osciencedbc.jp/
3	2のうち、ヒトに関するもの	NBDC ヒトデータベ ース	https://humandbs.bio sciencedbc.jp/

(2) 患者レジストリ検索システムへの登録について

クリニカル・イノベーション・ネットワーク(CIN)は、疾患登録システム(患者レジストリ)を臨床開発に利活用することで、日本国内における医薬品・医療機器等の臨床開発を活性化させることを目指し、そのための環境整備を産官学で行う厚生労働省主導のプロジェクトです。国立国際医療研究センターは、疾患登録システム(患者レジストリ)の活用促進による、効率的な医薬品・医療機器等の臨床開発の支援の一環として、国内に存在する患者レジストリに関する情報の検索システムを構築し、一般公開しています(https://cinc.ncgm.go.jp/)。患者レジストリ及びコホート研究(治験・介入研究は除く)に係る研究開発課題で同検索システムに未登録の場合は、登録にご協力をお願いします。

(3) 難病プラットフォームの活用について

難病プラットフォームは、AMED 及び厚生労働省の難病研究班が収集した臨床情報や生体試料から得られた情報を集約する情報統合基盤です。集約したデータのシェアリングや二次利用を通じて難病にかかわる研究者を繋ぎ、わが国の難病研究を推進させることを目指します。難病プラットフォームでは、利用する研究班にレジストリ構築支援、ゲノム解析支援を実施しています(https://www.raddarj.org/)。患者レジストリを構築される際は活用をご検討ください。

(4) 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えます。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、ご協力をお願いします。

13. 研究機器の共用促進に係る事項

委託研究開発費の効率的運用及び研究機器の有効利用の観点から、一定の要件のもと、「研究機器」の共用使用及び合算購入が認められます。詳細は、AMED「委託研究開発契約事務処理説明書」*にて確認してください。

https://www.amed.go.jp/keiri/index.html

14. 臨床研究法施行に係る対応

臨床研究法の施行(平成30年4月1日)により、臨床研究の実施に当たり厚生労働省が整備するデータベースである「臨床研究実施計画・研究概要公開システム」jRCT(Japan Registry of Clinical Trials)への登録や疾病等報告など法施行前とは異なる対応が必要となりました。法令遵守の上、適切な対応をお願いします。

臨床研究法施行後に開始される臨床研究については、jRCT 以外の国内臨床研究登録機関のデータベースに重複して登録しないこととしています。「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、既に他の臨床研究登録機関のデータベースに登録している場合は、法令等に従い適切に対応してください。以上の臨床研究法施行に係る対応の詳細については、厚生労働省のウェブサイト*を参照してください。

※ 臨床研究法について(厚生労働省ウェブサイト) http://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000163417.html

15. 革新的医療技術創出拠点による研究支援

AMED では、革新的医療技術創出拠点プロジェクトとして、文部科学省の推進事業である橋渡し研究戦略的推進プログラムと、厚生労働省の推進事業である医療技術実用化総合促進事業等と革新的医療シーズ実用化研究事業などを一体化し、一元化した事業実施体制の整備を進めています。本プロジェクトでは、橋渡し研究支援拠点や臨床研究中核病院等において、アカデミア等の革新的な基礎研究の成果を一貫して実用化につなぐ体制を構築するもので、人材確保・育成を含めた拠点機能の強化やネットワーク化を目的とした複数の基盤整備事業とシーズを育成し実用化を目指す橋渡し研究や医師主導治験を支援しています。

革新的医療技術創出拠点では、医薬品・医療機器等の開発を支援するために、薬事や生物統計、プロジェクトマネジメント、知財等の専門人材に加えて、バイオマーカー評価設備、細胞調製施設、臨床試験データのセキュアな管理センターを整備し、拠点内外のシーズに対して基礎研究段階から臨床試験・治験・実用化に関する支援を行っています。

ARO の支援対価の計上が研究費として認められる事業において、アカデミア発の医療シーズの実用化研究を計画、実施する際に革新的医療技術創出拠点による支援を希望される方は、以下の拠点一覧*にある問い合わせ先を参照してください。

※ 拠点一覧

https://www.amed.go.jp/program/list/05/01/001_ichiran.html

X. 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します(以下アドレス"AT"の部分を@に変えてください)。
- ※2 電話番号のお掛け間違いに注意してください。電話受付時間は、特記がない場合、平日 10:00~12:00 及び 13:00 ~17:00 です。
- ※ 3 https://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 E-mail:rare-koubo"AT"amed.go.jp		
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		
RIO ネットワーク	AMED 研究公正・法務部 E-mail: rionetwork"AT"amed.go.jp		
Medical IP Desk (医療分野の知財相談窓口)	AMED 知的財産部 E-mail: medicalip"AT"amed.go.jp		
創薬支援ネットワーク及び創薬戦略部によ る支援	AMED 創薬戦略部 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		
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 A. (6) (b) 1) 特記 事項に示すウェブサイトをご確認下さい。 →その上で、Tel: 03-5253-1111 (内線 2367)		
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) ページにて確認してください: https://www.e-rad.go.jp/contact.html →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 Tel: 03-5214-8491 E-mail: nbdc-kikaku"AT"jst.go.jp		

XI. 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 III. 章を、それぞれ参照してください。

A. 希少難治性疾患の克服に結びつく病態解明研究分野

(1)研究開発課題名

- A-1. 希少難治性疾患の病態解明研究(病態解明)
- A-2. 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(病態解明·若手)

(2) 背景及び目標

発症メカニズムが不明で根治に至る治療法が未確立な疾患である難病に対する治療法や診断法を新たに探索・同定につなげるため、先端技術を用いた革新的な研究や、独創性に富んだ解析技術を活用した研究が重要である。これらの点を踏まえて「A-1. 希少難治性疾患の病態解明研究(病態解明)」では難病の病態を解明する研究開発課題を、「A-2. 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(病態解明・若手)」では、若手研究者ならではの斬新なアイディアと手法で研究を行う研究開発課題を採択し、画期的な診断・治療・予防法の開発を推進する。

(3) 求められる成果

臨床応用されることを目的とした病態解明に関する画期的な発見を示す資料。(特許出願や原著論文及び関連学会での発表)

「A-1. 希少難治性疾患の病態解明研究(病態解明)」では、研究期間中の画期的発見が研究期間終了後に本事業の医薬品又は再生・細胞医療・遺伝子治療の実用化研究へ移行可能又は「診療に直結するエビデンス創出研究分野」につながるものであり、「A-2. 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(病態解明・若手)」については、今後、医薬品又は再生・細胞医療・遺伝子治療の実用化研究への移行又は、「診療に直結するエビデンス創出研究分野」への活用が期待できるものであること。

(4) 研究開発費の規模等

#	分野等	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
A-1	希少難治性疾患の	希少難治性疾患の病態解明 研究(病態解明)	1 課題あたり年間 10,000 千円程度 (間接経費を含まず)	最長3年 令和2年度~ 令和4年度	0~10 課題 程度
A-2	克服に結びつく病態解明研究分野	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(病態解明・ 若手)	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 令和2年度~ 令和4年度	0~10 課題 程度

(5) 採択条件

【共通部分】

- (a) 特定の疾患や疾患群において、病態解明を目的とする提案であること。
- (b) 臨床応用されることを目的とし、研究期間終了後に本事業の「希少難治性疾患に対する画期的な 医薬品の実用化に関する研究」、「希少難治性疾患に対する画期的な医療機器等の実用化に関す る研究」「希少難治性疾患に対する画期的な再生・細胞医療・遺伝子治療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分野」に繋がることを目指す研究開発であるこ と。

【研究開発課題毎の条件】

- (c) 「A-2. 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(病態解明・若手)」においては、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)「A-2. 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(病態解明・若手)」においては、研究開発代表者が「Ⅲ.1.節」の若手研究者の定義に一致していること。

(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外の罹患患者数を明記(不明の場合は不明と記載)し、研究計画の目的、革新性や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) 最終的なゴール、及びゴールに至るまでの具体的なマイルストンを設定し、明示すること。
 - 3)目標を明確にするため、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・社会的メリットを具体的に記載すること。
 - 4)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)、主な外部委託先等の役割を明示すること。その際、研究開発を効果的に進める上で、対象疾患の臨床情報や解析技術に関し十分な知識・経験のある専門家が含まれることが望ましい。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。
 - 5) 知的財産について記載の必要がある場合は、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。

(b) その他留意事項について

1)研究開発提案における対象疾患をカバー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。)

〇特記事項:対象疾患をカバー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「令和元年度 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/6030

上記を確認してもなお対象疾患をカバー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X.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。

(7)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		料の位置 づけ [*] 1 A-2		本章以外の 主な参照箇所	備考
1	业	公須	研究開発提案書	III章、IV章	指定様式
2	业	公須	研究開発提案書要約(英語及び日本語)	III章、IV章	指定様式
3	A-2 の公募に応募する場合、Ⅲ. 1. 節の若手研究者の定義に一致していることを示す資料(「博士学位証明書、 一 必須 医師免許及び医学部卒業年のわかる書類、産前・産後休業又は育児休業をとった期間がわかる書類」のうち必要なもの全て)		A-2 の公募に応募する場合、Ⅲ. 1. 節の若手研究者の定 義に一致していることを示す資料 (「博士学位証明書、 - 必須 医師免許及び医学部卒業年のわかる書類、産前・産後休		
4	任意		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(目的、対象、選択 基準、除外基準、症例又は検体数、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	IV章 2 (4) (b)	様式自由 様式語可 (提、研究験計画 の職を実験の記載を を主要になること を推奨します)

5	任意	提案する研究開発課題に関連する学術雑誌等に発表した 論文・著書、寄与した臨床指針・ガイドラインのうち、	_	
		主なもの・最新のものの本文		

※ 資料の位置づけは以下を参照すること。資料ついては、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。**提出しない場合は、資料番号を付した上で「該当しない」又は「存在し**ない」と記載した文書を提出ください。

B. 希少難治性疾患に対する画期的な医薬品※Iの実用化に関する研究分野

(1)研究開発課題名

- B-1. 薬事承認を目指す医薬品のシーズ探索研究(医薬品ステップO)
- B-2. 医薬品の治験準備 (医薬品ステップ1)
- B-3-1. 新規化合物^{※2} を用いた医薬品の治験 [以下、新規化合物等治験 (医薬品ステップ2・NME)]
- B-3-2. ドラッグ・リポジショニング*3又は国内未承認薬*4を用いた医薬品の治験 [以下、ドラッグ・リポジショニング等治験 (医薬品ステップ2・DR)]
- ※1 「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」における医薬品(核酸医薬品等を含む) を指し、再生医療等製品については、「D. 希少難治性疾患に対する画期的な再生・細胞医療・遺伝子治療の実用化 に関する研究分野」に応募ください。
- ※2 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薬事承認のうえ販売されたことがない医療用の物質を指す。
- ※3 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薬事承認のうえ販売されている既存の医薬品や、治験を実施中又は開発を中断した治験薬について新たな効能として再利用することを指し、サプリメント等の健康食品のように薬事承認を得ていないもの及び既存の医薬品(ラセミ体)を光学分割した医薬品は「B-3-1新規化合物等治験」に応募すること。
- ※4 ここでいう「国内未承認薬」とは欧米では使用が認められているが、国内では承認されていない医薬品を指す。

(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による治療が期待されており、新規化合物の国内での薬事承認に加え、既存の医薬品の適応拡大を目指した治験を実施し、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。

- (a) 「B-1. 薬事承認を目指す医薬品のシーズ探索研究(医薬品ステップO)」においては、開発候補物の 創出を目的としたスクリーニング系構築、ヒット化合物評価、構造最適化、探索的薬効評価等を行 い、原則として研究期間終了時までに、治験準備に進める状況になっていること。
- (b) 「B-2. 医薬品の治験準備(医薬品ステップ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と非臨床POCの取得、治験用製剤の確保(治験薬のGMP製造)、治験プロトコールの作成、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、治験へ進める状況となっていること。
- (c) 「B-3-1. 新規化合物等治験(医薬品ステップ2・NME)」、「B-3-2. ドラッグ・リポジショニング等治験(医薬品ステップ2・DR)」においては、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、臨床POCの取得、GMP製造等)し、原則として研究開発期間終了時までに、薬事承認申請を実施する企業等への導出が成立していること。

(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。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。

- (a) 「B-1. 薬事承認を目指す医薬品のシーズ探索研究(医薬品ステップO)」においては、開発候補物に 係る新規特許出願に関する資料、非臨床試験総括報告書、新しいシーズ探索の成果を示す資料(原著 論文と、原著論文のリファレンス数等)、企業等への導出を示す資料(該当する場合)。
- (b) 「B-2. 医薬品の治験準備(医薬品ステップ1)」においては、非臨床試験総括報告書(安全性試験については GLP)、治験薬 GMP 製造した製剤の確保・提供を証明・保証する書類及び製造工程記録一式、治験薬概要書、企業等への導出を示す資料(該当する場合)。
- (c) 「B-3-1. 新規化合物等治験(医薬品ステップ2・NME)」及び「B-3-2. ドラッグ・リポジショニング等治験(医薬品ステップ2・DR)」においては、治験総括報告書、GMP製造した製剤の確保・提供を証明・保証する書類及び製造工程記録一式、治験薬概要書最新版、企業等への導出を示す資料。

(4) 研究開発費の規模等

#	分野等	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
B-1	希少難治性疾患に対す る画期的な医薬品の実 用化に関する研究分野	薬事承認を目指す医薬品のシー ズ探索研究 (医薬品ステップ0)	1課題あたり年間 30,000千円程度 (間接経費を含ま ず)	最長3年 令和2年度~ 令和4年度	0~5 課題 程度
B-2		医薬品の治験準備 (医薬品ステップ1)	1課題あたり年間 90,000千円程度 (間接経費を含ま ず)	最長3年 令和2年度~ 令和4年度	0~9 課題 程度
B-3-1		新規化合物を用いた医薬品の治 験 (医薬品ステップ2・NME)	1 課題あたり年間 120,000 千円程度 (間接経費を含ま ず)	最長3年 令和2年度~ 令和4年度	0~3 課題 程度
B-3-2		ドラッグ・リポジショニング又 は国内未承認薬を用いた医薬品 の治験 (医薬品ステップ2・DR)	1 課題あたり年間 90,000 千円程度 (間接経費を含ま ず)	最長3年 令和2年度~ 令和4年度	0~3 課題 程度

(注)「医薬品の治験準備(医薬品ステップ1)」、「新規化合物等治験(医薬品ステップ2・NME)」及び「ドラッグ・リポジショニング等治験(医薬品ステップ2・DR)」については、同一公募研究開発課題への実質的に同一研究内容での応募は1期のみとする。

(5) 採択条件

【共通部分】

- (a) 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。
- (b) 対象とする疾患が特定され希少難治性疾患であること。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)について調査方法・調査実施時期等根拠を示した上で、提案する治療法の優位性を含むTPP(Target Product Profile)*が明記されていること。

※候補物名(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)、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)、用法・剤形(患者の服用容易性)、臨床開発における課題などを意味する

【研究開発課題毎の条件】

- (c) 「B-1. 薬事承認を目指す医薬品のシーズ探索研究(医薬品ステップO)」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。
- (d) 「B-1. 薬事承認を目指す医薬品のシーズ探索研究(医薬品ステップO)」においては、メディシナルケミストリー、毒性学等の開発候補物の開発及び評価が可能な専門家又は製薬企業が研究に関与する体制が整備されている、もしくは当該業務について専門性を有する橋渡し研究支援拠点やCROに委託する研究計画であること。
- (e) 「B-2. 医薬品の治験準備(医薬品ステップ1)」においては、治験を実施するために必要な全ての 非臨床試験が研究開発期間内に完了する計画であること。また、既に行った非臨床試験および今後行 おうとする非臨床試験について非臨床試験報告書等をもとに非臨床試験サマリーおよび非臨床試験ガ ントチャート(研究開発提案書別紙1及び2)を記載すること。
- (f) 「B-3-1. 新規化合物等治験(医薬品ステップ2・NME)」及び「B-3-2. ドラッグ・リポジショニング等治験(医薬品ステップ2・DR)」においては、治験を実施するために必要な全ての非臨床試験について、非臨床試験報告書等をもとに非臨床試験サマリーおよび非臨床試験ガントチャート(研

究開発提案書別紙1及び2)を記載し、その中で非臨床データパッケージの充足性について説明すること。

- (g) 「B-3-1. 新規化合物等治験(医薬品ステップ2・NME)」及び「B-3-2. ドラッグ・リポジショニング等治験(医薬品ステップ2・DR)」においては、導出予定企業名及び導出予定時期が記載されており、本研究にて臨床POCが取得できた場合は当該企業が承認申請を担当することに同意したことを示す記録(メール等で可)が提出されていること。なお、AMEDとの契約締結後1年以内に、本件についての契約書を研究開発代表者と当該企業にて締結することとし、当該企業の権利、競争上の地位その他正当な利益を害するおそれがある情報を除き、AMEDが契約内容を閲覧することを承諾すること。
- (h) 「B-3-1. 新規化合物等治験(医薬品ステップ2・NME)」及び「B-3-2. ドラッグ・リポジショニング等治験(医薬品ステップ2・DR)」においては、導出予定企業の協力内容が明記され、評価(事前・中間・事後)や進捗管理の際に当該企業等の担当者が同席すること。
- (i) 「B-3-1. 新規化合物等治験(医薬品ステップ2・NME)」及び「B-3-2. ドラッグ・リポジショニング等治験(医薬品ステップ2・DR)」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・リポジショニング等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。
- (j) 「B-3-1. 新規化合物等治験(医薬品ステップ2・NME)」及び「B-3-2. ドラッグ・リポジショニング等治験(医薬品ステップ2・DR)」においては、AMEDとの契約締結後、半年以内に治験届を提出できること。
- (к) 「B-3-1. 新規化合物等治験(医薬品ステップ2・NME)」及び「B-3-2. ドラッグ・リポジショニング等治験(医薬品ステップ2・DR)」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)。
- (I) 「B-3-1. 新規化合物等治験(医薬品ステップ2・NME)」及び「B-3-2. ドラッグ・リポジショニング等治験(医薬品ステップ2・DR)」においては、治験(多施設で実施する場合は多施設共同治験)を実施できる体制や専門家(生物統計家*、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。

※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。

(6) 留意事項

【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を念頭に内容・時期等が適切、かつ明確なマイルストンを設定すること。各タスク(分担研究等)の開始時期、完了時期、担当者に加え各タスクの依存関係(前後関係)を示すこと。
- (b) 遵守すべき研究に関係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。
- (c) 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。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。
- (d) 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。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。
- (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、試料のリ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)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^{※2}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。
 - ※1 <u>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</u>が、実施時期については<u>相談に必要なデータが揃っているかを薬事専門家等とも検討</u>のうえ、計画的に適切な時期に実施ください。なお、対面助言を実施した場合は、その結果について研究開発計画書に適切に反映ください。
 - ※2 「XI章 A. (6) (b) 1) 特記事項」を参照ください。

【研究開発課題毎の留意事項】

- (g) 「B-2. 医薬品の治験準備(医薬品ステップ1)」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提案書別紙(非臨床試験サマリー)及び研究開発提案書別紙(非臨床試験ガントチャート)に記載すること。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し説明すること。(例えば、hERG 試験において hERG 電流の抑制率が●●%を超過した場合、開発を中止する等)
- (h) 「B-3-1. 新規化合物等治験(医薬品ステップ2・NME)」及び「B-3-2. ドラッグ・リポジショニング等治験(医薬品ステップ2・DR)」においては、研究期間内にコンパッショネート使用としての長期投与試験(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、当該長期投与試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。
- (i) 「B-3-1. 新規化合物等治験(医薬品ステップ2・NME)」及び「B-3-2. ドラッグ・リポジショニング等治験(医薬品ステップ2・DR)」においては、エントリー計画は患者数だけでなく選択基準にて抽出した一次スクリーニングに加え、除外基準に抵触していないことを確認した二次スクリーニング、それに同意取得率や観察期間等を設定する場合は脱落率などを考慮のうえ、具体的な条件をもとに組入れ計画を月毎で算定すること。なお、エントリー期間は1年以内を推奨するが、3年間の研究期間終了後に総括報告書が完成するよう逆算して「開鍵、Last subject out、Last subject in、First subject in」の時期を設定し、実現可能な計画とすること。
- (j) 「B-3-1. 新規化合物等治験(医薬品ステップ2・NME)」及び「B-3-2. ドラッグ・リポジショニング等治験(医薬品ステップ2・DR)」においては、法令・倫理指針・通知等に従い当該治験又は研究に関連する有害事象等情報の把握に努めるとともに、法令等に基づく有害事象の報告を適切に行い、研究継続又は研究計画に影響を与える事項が発生した場合は AMED にも速やかに報告すること。

(7) 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	B-1	資料の B-2	位置づけ [※] B-3-1 B-3-2	提出物	本章以外の 主な参照箇所	備考
1	D I		<u> D </u>	研究開発提案書	Ⅲ章、Ⅳ章	指定様式
2			必須	研究開発提案書要約(英語及び日本語)	Ⅲ章、Ⅳ章	指定様式
3	— 必須		必須	研究開発提案書別紙(非臨床試験サマリー)及び 研究開発提案書別紙(非臨床試験ガントチャー ト)	-	指定様式
4	任意		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)	IV章 2 (4) (a)	
5	必須		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に関するプロトコール又はプロトコール概要等(目的、期間、対象、選択基準、除外基準、症例又は検体数、観察内容、介入内容、試薬、使用機器、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こと)	IV章 2 (4) (b)	様式自由 英語可
6	_	_	必須	エントリー計画及び根拠資料	_	様式自由

7	任意	必須	企業導出に関する同意を示す資料 (メール等でも 可)	_	様式自由
8	8 必須		開発候補物に係る特許(物質特許、用途特許等) の出願・取得状況を示す資料(出願準備中の場合 は出願予定の技術等の要旨、既出願未公開の場合 は明細書要旨、既公開の場合は出願公開公報・特 許公報)	-	
9	- 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	ı	
10		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	ı	
11		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	_	
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	_	

※ 資料の位置づけは以下を参照すること。(「B-1」~「B-3-2」は対応する公募研究開発課題を示す) 資料ついては、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。**提出しない場合は、資料番号を付した上で「該当しない」又は「存在し**ない」と記載した文書を提出ください。

- C. 糖鎖異常が関連する希少難治性疾患(以下「糖鎖異常関連疾患」という。)の克服研究分野
 - (1)研究開発課題名
 - C-1. 糖鎖異常関連疾患に関する医薬品*のシーズ探索研究 (糖鎖ステップO)
 - C-2. 糖鎖異常関連疾患に関する体外診断用医薬品*のシーズ探索研究 (糖鎖検査ステップO)
 - ※「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」における医薬品(核酸医薬品等を含む)又は体外診断用医薬品を指す

(2) 背景及び目標

我が国はこれまでの糖鎖研究事業の成果として、レクチンアレイ技術や質量分析技術、糖タンパク質合成技術、糖鎖関連データベース、糖鎖遺伝子ノックアウトマウス等、世界レベルの基礎研究技術を開発しており、近年、AMED の「糖鎖利用による革新的創薬技術開発事業」においても糖鎖解析・創薬利用の技術開発が進められている。

希少難治性疾患の中には糖鎖の異常が病因に関わるものが多く、未診断疾患イニシアチブ/Initiative on Rare and Undiagnosed Diseases(以下「IRUD」という。)による未診断疾患の解析等により糖鎖異常が関連する新規疾患の発見も増加しいる。また古くから知られている難治性疾患においても、病態メカニズムを解明するために糖鎖解析技術の活用を必要とするものが増えている。このような状況をうけ、我が国の糖鎖解析技術を活かし、希少難治性疾患を対象とした糖鎖関連の病態をターゲットにした画期的な医薬品のシーズ創出を目指した研究[C-1 糖鎖異常関連疾患に関する医薬品のシーズ探索研究(糖鎖ステップ〇)]、及び新しい解析技術を応用し糖鎖関連の検体検査として、3-5 年後を目処に医療実装を目指す研究[C-2 糖鎖異常関連疾患に関する体外診断用医薬品のシーズ探索研究(糖鎖検査ステップ〇)]を採択し、画期的な診断・治療・予防法の開発を推進する。

それぞれの公募に対し具体的には以下を目標とする。

- (a) 「C-1. 糖鎖異常関連疾患に関する医薬品のシーズ探索研究(糖鎖ステップO)」においては、「糖鎖利用による革新的創薬技術開発事業」と連携のうえ、糖鎖異常関連疾患の開発候補物の創出を目的としたスクリーニング系構築、ヒット化合物評価、構造最適化、探索的薬効評価等を行い、原則として研究期間終了時までに治験準備にすすめる状態になっていること。
- (b) 「C-2. 糖鎖異常関連疾患に関する体外診断用医薬品のシーズ探索研究(糖鎖検査ステップの)」においては、「糖鎖利用による革新的創薬技術開発事業」と連携のうえ、自施設のみならず他の医療機関等からの患者検体も請け負い、新規糖鎖解析技術の応用もしくは既存の技術の組み合わせ及び最適化により、希少難治性疾患の発症に関与する生体分子あるいは生命現象の発見や同定、臨床現場への診断に資する情報等の還元を行うとともに、糖鎖関連の検体検査に関する知財を確保し、体外診断用医薬品の承認申請を担う企業等への導出の準備が完了していること。
 - 注)本研究分野では「糖鎖利用による革新的創薬技術開発事業」と連携することを念頭にしているため、連携をしない糖鎖異常関連疾患に関する研究は別の公募分野に応募すること。また、本研究分野に応募した場合、実質的に同一の研究グループ、研究内容では「B-1. 薬事承認を目指す医薬品のシーズ探索研究(ステップ〇)」及び「D-1. 薬事承認を目指す再生・細胞医療・遺伝子治療のシーズ探索研究(再生等ステップ〇)」には応募できない。

(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。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。

- (a) 「C-1. 糖鎖異常関連疾患に関する医薬品のシーズ探索研究(糖鎖ステップO)」においては、当該研究における、開発候補物に係る新規特許出願に関する資料、非臨床試験総括報告書、新しいシーズ探索の成果を示す資料(原著論文と、原著論文のリファレンス数等)、企業等への導出を示す資料。(該当する場合)
- (b) 「C-2. 糖鎖異常関連疾患に関する体外診断用医薬品のシーズ探索研究 (糖鎖検査ステップの)」においては、希少難治性疾患の発症又は進行に関与する生体分子あるいは生命現象の発見や同定の成果を示す資料 (原著論文と、原著論文のリファレンス数等)、臨床現場への診断に資する情報等の還元として受入検体数、解析検体数、情報の返却数等の年度毎の実施数、糖鎖関連の検体検査に関する新規特許出願に関する資料、及び体外診断用医薬品の承認申請を担う企業等への導出を示す資料。(該当する場合)

(4) 研究開発費の規模等

#	分野等	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
C-1	糖鎖異常関連疾患 の克服研究分野	糖鎖異常関連疾患に関する医薬品の シーズ探索研究 (糖鎖ステップO)	1 課題あたり年間 24,000 千円程度 (間接経費を含ま ず)	最長3年 令和2年度 ~令和4年 度	0~2 課題程度
C-2		糖鎖異常関連疾患に関する体外診断 用医薬品のシーズ探索研究 (糖鎖検査ステップ0)	1 課題あたり年間 16,000 千円程度 (間接経費を含ま ず)	最長3年 令和2年度 ~令和4年 度	0~2 課題程度

(5) 採択条件

- (a) 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。
- (b) 「糖鎖利用による革新的創薬技術開発事業」の研究開発代表者と共同研究の契約を締結している、 又は内諾を得ていること。なお、希少難治性疾患を対象とした糖鎖解析の経験及び解析技術を保持 する組織とも共同研究体制を構築していることが望ましい。
- (c) 対象とする疾患が特定され糖鎖異常関連疾患であること。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)について調査方法・調査実施時期等根拠を示した上で、提案する治療法の優位性を含むTPP(Target Product Profile)*が明記されていること。
- (d) 「(3) 求められる成果」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。
- (e) メディシナルケミストリー、毒性学等の開発候補物の開発及び評価が可能な専門家又は製薬企業が研究に関与する体制が整備されている、もしくは当該業務について専門性を保有するCROに委託する研究計画であること。

※候補物名(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)、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)、用法・剤形(患者の服用容易性)、臨床開発における課題などを意味する。「3-1 糖鎖異常関連疾患に関する医薬品のシーズ探索研究(糖鎖ステップ〇)」においては、記載例を参考に可能な範囲で記載すること。

(6) 留意事項

【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を念頭に、研究期間に実施する内容・時期等が適切、 かつ明確なマイルストンを設定すること。各タスク(分担研究等)の開始時期、完了時期、担当者 に加え各タスクの依存関係(前後関係)を示すこと。
- (b) 遵守すべき研究に関係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。
- (c) 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。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。
- (d) 検体の分析・保管が必要な場合には、試料のリ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) 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。)

※「XI章 A. (6) (b) 1)特記事項」を参照ください。

【研究開発課題毎の留意事項】

(f)「C-2. 糖鎖異常関連疾患に関する体外診断用医薬品のシーズ探索研究(糖鎖検査ステップO)」の場合は、医療実装を担当する企業等とのパートナーシップを推進するための方策を研究開発提案書に示すこと。

(7)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	資料の位置づけ※	le.u.t/	本章以外の	,,,,,,
番号	C-1 C-2	提出物	主な参照箇 所	備考
1	必須	研究開発提案書	Ⅲ章、Ⅳ章	指定様式
2	必須	研究開発提案書要約(英語及び日本語)	Ⅲ章、Ⅳ章	指定様式
3	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)	IV章 2 (4) (a)	
4	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に関するプロトコール又はプロトコー ル概要等(目的、期間、対象、選択基準、除外基準、症例 又は検体数、観察内容、介入内容、試薬、使用機器、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 必要な情報を含むこと)	IV章 2 (4) (b)	様式自由 英語可
5	必須	開発候補物に係る特許(物質特許、用途特許、製法・製剤 特許等)の出願・取得状況を示す資料(出願準備中の場合 は出願予定の技術等の要旨、既出願未公開の場合は明細書 要旨、既公開の場合は出願公開公報・特許公報)	ı	
6	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	_	
7	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	_	
8	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	_	
9	任意	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)	-	

※ 資料の位置づけは以下を参照すること。

資料ついては、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。**提出すべき資料が存在しない場合は、資料番号を付した上で「該当しな い」と記載した文書を提出**ください。

D. 希少難治性疾患に対する画期的な再生・細胞医療・遺伝子治療の実用化に関する研究分野

(1)研究開発課題名

- D-1. 薬事承認を目指す再生・細胞医療・遺伝子治療のシーズ探索研究(再生等ステップO)
- D-2. 再生・細胞医療・遺伝子治療の治験準備(再生等ステップ1)
- D-3. 再生・細胞医療・遺伝子治療の治験(再生等ステップ2)

(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再生・細胞医療・遺伝子治療による画期的な治療によって根本治療となることや高い奏効率が期待され、患者の QOL や予後の向上に資することが望まれている。再生医療分野においては日本が強みを有しておりさらなる注力が望まれる一方、殊に細胞医療・遺伝子治療分野においては世界的な研究開発競争の潮流にあり、我が国独自の画期的な医療技術も含め、本領域での治療開発が強く期待されている。

本公募研究開発課題では、再生・細胞医療・遺伝子治療について基礎から臨床段階まで切れ目無く一貫した支援を行い、アカデミア発の有望なシーズや汎用技術などの育成を通じ画期的な診断・治療・予防法の開発を推進する。また、これらの開発研究を通じ必要な製造技術・安全性評価技術・周辺技術の実用化を促進する。具体的には以下を目標とする。

- (a) 「D-1. 薬事承認を目指す再生・細胞医療・遺伝子治療のシーズ探索研究(再生等ステップO)」においては、希少難治性疾患の再生・細胞医療・遺伝子治療の開発シーズ取得に向けて、非臨床 POCを目指す研究を推進する。原則として研究開発期間終了時までに、特許出願と「再生・細胞医療・遺伝子治療の治験準備(再生等ステップ1)」に進める状況になっていること。
- (b) 「D-2. 再生・細胞医療・遺伝子治療の治験準備(再生等ステップ 1) 」においては、治験又は再生医療等安全確保法に基づく臨床研究を通じた保険収載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GCTP製造等)、治験プロトコールの作成、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、治験又は再生医療等安全確保法に基づく臨床研究へ進める状況となっていること。
- (c) 「D-3. 再生・細胞医療・遺伝子治療の治験(再生等ステップ2)」においては、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、臨床 P O C の取得、G C T P 製造等) し、原則として研究開発期間終了時までに、薬事承認申請を実施する企業等への導出が成立していること。

(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。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。

- (a) 「D-1. 薬事承認を目指す再生・細胞医療・遺伝子治療のシーズ探索研究(再生等ステップO)」においては、研究開発に係る新規特許出願に関する資料、非臨床試験総括報告書、非臨床 POC 取得を示す資料(原著論文等)、企業等への導出を示す資料(該当する場合)。
- (b) 「D-2. 再生・細胞医療・遺伝子治療の治験準備(再生等ステップ 1)」においては、非臨床試験総括報告書(安全性試験については GLP)、治験薬を GCTP 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) 「D-3. 再生・細胞医療・遺伝子治療の治験(再生等ステップ2)」においては、治験総括報告書、GCTP 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。

(4) 研究開発費の規模等

#	分野等	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
D-1	D-1 希少難治性疾患に 対する画期的な再 生・細胞医療・遺 伝子治療の実用化 に関する研究分野	薬事承認を目指す再生・細胞医療・遺伝子治療のシーズ探索研究 (再生等ステップ0)	1課題あたり年間 24,000千円程度 (間接経費を含まず)	最長3年 令和2年度 ~令和4年 度	0~2 課題 程度
D-2		再生・細胞医療・遺伝子治療の 治験準備 (再生等ステップ1)	1課題あたり年間 90,000千円程度 (間接経費を含まず)	最長3年 令和2年度 ~令和4年 度	0~1 課題 程度
D-3		再生・細胞医療・遺伝子治療の 治験 (再生等ステップ2)	1課題あたり年間 120,000千円程度 (間接経費を含まず)	最長3年 令和2年度 ~令和4年 度	0~1 課題 程度

(5) 採択条件

【共通部分】

- (a) 提案しようとする再生・細胞医療・遺伝子治療について提案しようとする開発フェーズの開発を行った経験があること、又は同開発の経験がある研究者 (アカデミア・企業は問わない) が体制に加わっていること、及びその開発で得られた成果 (研究開発に係る新規特許出願に関する資料等) について提案書において説明がなされていること。
- (b) 戦略的に知的財産権を確保しそれを適切に管理・活用できるとともに、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、弁理士等)が体制に加わっている、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。
- (c) 対象とする疾患が特定され希少難治性疾患であること。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)について調査方法・調査実施時期等根拠が示した上で明記されていること。また、提案する治療法の優位性を含むTPP(Target Product Profile) **が明記されていること。

※想定効能・効果(有効性が期待される疾患の症状)、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)、用法、各構成体の「形状、構造、成分」等、臨床開発における課題などを意味する

【研究開発課題毎の条件】

- (d) 「D-1. 薬事承認を目指す再生・細胞医療・遺伝子治療のシーズ探索研究(再生等ステップO)」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。
- (e) 「D-2. 再生・細胞医療・遺伝子治療の治験準備(再生等ステップ 1) 」においては、治験を実施するために必要な全ての非臨床試験が研究開発期間内に完了する計画であること。また、既に行った非臨床試験および今後行おうとする非臨床試験について非臨床試験報告書等をもとに非臨床試験サマリーおよび非臨床試験ガントチャート(研究開発提案書別紙 1 及び 2) を記載すること。
- (f) 「D-3. 再生・細胞医療・遺伝子治療の治験(再生等ステップ2)」においては、治験を実施するために必要な全ての非臨床試験について、非臨床試験報告書等をもとに非臨床試験サマリーおよび非臨床試験ガントチャート(研究開発提案書別紙1及び2)を記載し、その中で非臨床データパッケージの充足性について説明すること。
- (g) 「D-3. 再生・細胞医療・遺伝子治療の治験(再生等ステップ2)」においては、導出予定企業名及び導出予定時期が記載されており、本研究にて臨床POCが取得できた場合は当該企業が承認申請を担当することに同意したことを示す記録(メール等で可)が提出されていること。なお、AMEDとの契約締結後1年以内に、本件についての契約書を研究開発代表者と当該企業にて締結すること。
- (h) 「D-3. 再生・細胞医療・遺伝子治療の治験(再生等ステップ2)」においては、導出予定企業の協力内容が明記され、評価(事前・中間・事後)や進捗管理の際に当該企業等の担当者が同席すること。

- (i)「D-3. 再生・細胞医療・遺伝子治療の治験(再生等ステップ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)が明記されていること。
- (k)「D-3. 再生・細胞医療・遺伝子治療の治験(再生等ステップ2)」においては、AMEDとの契約締結後、半年以内に治験が開始できる開発計画であること。
- (I) 「D-3. 再生・細胞医療・遺伝子治療の治験(再生等ステップ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年以内を推奨)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)。
- (m) 「D-3. 再生・細胞医療・遺伝子治療の治験(再生等ステップ2)」においては、治験(多施設で実施する場合は多施設共同治験)を実施できる体制や専門家(生物統計家[※]、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。
- (n) 「D-3. 再生・細胞医療・遺伝子治療の治験(再生等ステップ2)」においては、ゲノム編集技術を利用した製品を用いた治験では製品のタイプに応じた長期フォローアップが必要なことに留意し、治験終了後のフォローアップ計画も含む提案であること。
 - ※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。

(6) 留意事項

【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を念頭に内容・時期等が適切、かつ明確なマイルストンを設定すること。各タスク(分担研究等)の開始時期、完了時期、担当者に加え各タスクの依存関係(前後関係)を示すこと。
- (b) 遵守すべき研究に関係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。
- (c) 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。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。
- (d) 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。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。
- (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、試料のリ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) 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^{※2}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。
- (g) 最終的に再生医療等製品の開発に資するものであれば、細胞そのものではなくミトコンドリア等構成要素の移植による治療や、ウイルスベクターを用いないデリバリー技術によるゲノム編集治療なども本公募枠の対象とする。
 - ※1 <u>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</u>が、実施時期については<u>相談に必要なデータが揃っているかを薬事専門家等とも検討</u>のうえ、計画的に適切な時期に実施ください。なお、対面助言を実施した場合は、その結果について研究開発計画書に適切に反映ください。
 - ※2「XI章 A. (6) (b) 1) 特記事項」を参照ください。

【研究開発課題毎の留意事項】

- (h) 「D-2. 再生・細胞医療・遺伝子治療の治験準備(再生等ステップ1)」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提案書別紙(非臨床試験サマリー)及び研究開発提案書別紙(非臨床試験ガントチャート)に記載すること。その際、研究開発の継続判断に利用する試験を特定し、その判断基準を具体的に説明すること。(例えば、XX 試験において YY の抑制率が ZZ%を超過した場合、開発を中止する等)
- (i) 「D-3. 再生・細胞医療・遺伝子治療の治験(再生等ステップ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投与試験(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、当該長期投与試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。
- (j)「D-3. 再生・細胞医療・遺伝子治療の治験(再生等ステップ2)において、エントリー計画は患者数だけでなく選択基準にて抽出した一次スクリーニングに加え、除外基準に抵触していないことを確認した二次スクリーニング、それに同意取得率や観察期間等を設定する場合は脱落率などを考慮のうえ、具体的な条件をもとに算定すること。なお、エントリー期間は1年以内とすることを推奨するが、3年間の研究期間終了後に総括報告書が完成するよう逆算して「開鍵、Last subject out、Last subject in、First subkect in」の時期を設定し、実現可能な計画とすること。
- (k) 「D-3. 再生・細胞医療・遺伝子治療の治験(再生等ステップ2)においては、法令・倫理指針・通知等に従い当該治験又は研究に関連する有害事象等情報の把握に努めるとともに、法令等に基づく有害事象の報告を適切に行い、研究継続又は研究計画に影響を与える事項が発生した場合は AMED にも速やかに報告すること。

(7)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			づけ*	提出物	本章以外の	備考
番号	D-1	D-2	D-3	1定山初	主な参照箇所	IIII 75
1		必須		研究開発提案書	Ⅲ章、Ⅳ章	指定様式
2		必須		研究開発提案書要約(英語及び日本語)	Ⅲ章、Ⅳ章	指定様式
3	-	ų	必須	研究開発提案書別紙(非臨床試験サマリー)及び研究 開発提案書別紙(非臨床試験ガントチャート)	-	指定様式
4	任意 必須		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)	IV章 2 (4) (a)	
5	任意 必須		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に関するプロトコール又はプロトコール概要等(目的、期間、対象、選択基準、除外基準、症例数、観察内容、介入内容、試薬、使用機器、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こと)	IV章 2 (4) (b)	様式自由 英語可
6	_		必須	エントリー計画及び根拠資料	_	様式自由
7	任意	意	必須	企業導出に関する同意を示す資料(メール等でも可)	_	様式自由
8	8 必須			開発候補物に係る特許(物質特許、用途特許等)の出願・取得状況を示す資料(出願準備中の場合は出願予定の技術等の要旨、既出願未公開の場合は明細書要旨、既公開の場合は出願公開公報・特許公報)	-	
9	一 必須		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	_	現在の進捗段階に
10	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	-	応じて、 相当する 書類を添 付するこ
11	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	_	ک کی
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	_	

[※] 資料の位置づけは以下を参照すること。(「D-1」~「D-3」は対応する公募研究開発課題を示す) 資料ついては、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。<u>提出しない場合は、資料番号を付した上で「該当しない」又は「存在しない」と記載した文書を提出</u>ください。

E. 診療に直結するエビデンス創出研究分野

(1) 研究開発課題名

E-1. 希少難治性疾患の診療に直結するエビデンス創出研究 (エビデンス創出)

E-2. 先進医療 B 又は患者申出療養制度によるエビデンス創出研究(先進等エビデンス創出)

(2) 背景及び目標

診療ガイドライン等は最適と考えられる医療を推奨するために重要なものであり、その作成・改訂には、 疾患の自然歴に関する新たな知見の獲得、診断バイオマーカーや治療効果指標の妥当性あるいは予防法・ 治療法の最適化に関する検討・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の作成・改訂に資するエビデンスを創出することで医療の最適化に寄与することを目標とする。なお、エビデンスの創出において情報技術(ICT や AI 等を含む)を活用する研究に加え、希少疾患の中でも更に患者数が少ない等の理由により治験にて有効性及び安全性を検証することが困難である場合や、治験を実施しても現時点で製造販売承認を担当する企業を見出すことが不可能なことが明らかな場合における先進医療 B 又は患者申出療養制度による臨床研究も対象に含む。

(3) 求められる成果

診療ガイドライン等の作成・改訂に資するエビデンスを創出したことを示す資料(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^{※1}の研究課題(以下「難治性疾患政策研究班」という。)等が存在する場合は、連携を必須とする((5)(j)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・改訂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・改訂自体(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、本研究課題では、治験は対象外とするが、バイオマーカー等創薬研究に応用可能もしくは診療ガイドライン等に反映するための予防・診断・治療に資する臨床研究^{※2}の実施は可能である。

連携する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・改訂自体(とりまとめ)も実施できるが、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・普及等に努めること。なお、本研究で得られた成果により診療ガイドライン等の作成・改訂がなされた又は作成・改訂を実施した場合は、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 に出すること。

- ※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 既承認の医薬品等を用いた臨床研究を予定する場合、国内における添付文書記載の効能・効果及び用法・用量の 範囲内とする。なお、患者数が非常に少ない等の理由により治験にて有効性及び安全性を検証することが困難である 場合や、治験を実施しても製造販売承認を担当する企業を見出すことが不可能なことが明らかな場合は、未承認もし くは適応外薬を用いた臨床研究についても応募可能とするが、その場合は実施体制が先進医療 B 又は患者申出療養制 度に合致すること。

(4) 研究開発費の規模等

#	分野等	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
E-1	診療に直結する	希少難治性疾患の診療 に直結するエビデンス 創出研究 (エビデンス創出)	1 課題あたり年間 11,000 千円程度 (間接経費を含まず)	最長3年 令和2年度~令 和4年度	0~20 課題 程度
E-2	おないでは、 エビデンス創出 研究分野	先進医療 B 又は患者申 出療養制度によるエビ デンス創出研究 (先進等エビデンス創 出)	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 令和2年度~令 和4年度	0~1 課題 程度

(5) 採択条件

【共通部分】

- (a) 提案する研究開発内容が、本事業で規定する希少難治性疾患の克服を目指すものであること。
- (b) 内容が明確で必要性の高い研究開発提案であること(研究開発提案書に「解決するクリニカルクエスチョン」、「解決方法」、「解決するクリニカルクエスチョンの重要性(臨床的意義)」を明記すること)。
- (c) 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ンを設定すること)。
- (d) 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・改訂に資する 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。
- (e) 「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」に基づき製造販売業者が 行う製造販売後臨床試験や調査の実施、もしくは特定の既承認薬に関する有効性又は安全性の評価を 含まない研究開発提案であること。
- (f) 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、試料のリ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。
- (g)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^{※1}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。
- (h) 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*2 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)。
 - ※1 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。
 - ※2「XI章 A. (6) (b) 1) 特記事項」を参照ください。

【研究開発課題毎の条件】

- (i) 「E-1. 希少難治性疾患の診療に直結するエビデンス創出研究(エビデンス創出)」については、対象疾患に対して適応外使用の医薬品・医療機器等による介入研究の実施及び治験を含まない研究開発提案であること。
- (j)「E-2. 先進医療 B 又は患者申出療養制度によるエビデンス創出研究(先進等エビデンス創出)」については、先進医療 B 又は患者申出療養制度による臨床研究を実施する上で、研究体制の中で「対象・施設・内容」の要件について各制度の規定を満たしていること。
- (k) 「E-2. 先進医療 B 又は患者申出療養制度によるエビデンス創出研究(先進等エビデンス創出)」については、本研究期間(3 年)終了後も当該医療を継続的に患者へ提供するための方策や計画(費用負担含む)が立案されていること。
- (I) 「E-2. 先進医療 B 又は患者申出療養制度によるエビデンス創出研究(先進等エビデンス創出)」については、投与予定の未承認薬又は適応外薬について、必要数量を確保済み又は確保する目処がついていること。
- (m) 「E-2. 先進医療 B 又は患者申出療養制度によるエビデンス創出研究(先進等エビデンス創出)」の うち患者申出療養については、患者さんの申出を起点とする制度のため、応募時に患者申出療養の利 用を希望する患者さんが存在し、予定するプロトコール及び費用負担について内諾が得られているこ と。
- (n) 「E-2. 先進医療 B 又は患者申出療養制度によるエビデンス創出研究(先進等エビデンス創出)」に ついては、先進医療告示においてまだ規定されていない新規技術、および患者申出療養としてまだ告 示されていない医療技術であること。

(6) 留意事項

【共通部分】

- (a)研究の対象となる疾患名及び国内患者数を明記(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。
- (b) 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)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。
- (c)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。
- (d) 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の詳細を記載すること。
- (e) 遵守すべき研究に関係する指針等を明示し、本研究開発期間中に臨床研究を予定する場合は、 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。
- (f)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。
- (g) 将来的に研究の成果を臨床応用するに当たって、積極的に国際展開を検討することが望ましい。
- (h)情報技術(ICT や AI 等を含む)を活用した研究の場合は、研究協力体制として研究推進に必要となる最適な専門家と連携し、関与を明確にすること。
- (i) 法令・倫理指針・通知等に従い当該研究に関連する有害事象等情報の把握に努めるとともに、 法令等に基づく有害事象の報告を適切に行い、研究継続又は研究計画に影響を与える事項が発生 した場合は AMED にも速やかに報告すること。
- ※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。

【研究開発課題毎の留意事項】

- (j) 「E-1. 希少難治性疾患の診療に直結するエビデンス創出研究(エビデンス創出)」については、エビデンス創出のために既承認医薬品・医療機器等を用いて、有効性、安全性等に係る臨床試験を国内における添付文書記載の効能・効果及び用法・用量の範囲内で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)。
- (k) 「E-2.先進医療 B 又は患者申出療養制度によるエビデンス創出研究(先進等エビデンス創出)」については、使用する医薬品や実施症例数等により必要経費が大きく変動するため、費用の算定根拠を明確にした上で適正な費用で応募すること。

(7) 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	資料の位	ⅳ置づけ※	提出物	本章以外の	備考
番号	E-1	E-2	佐山初	主な参照箇所	1佣石
1	必	須	研究開発提案書	Ⅲ章、Ⅳ章	指定様式
2	必	須	研究開発提案書要約(英語及び日本語)	Ⅲ章、Ⅳ章	指定様式
3	I	必須	研究開発提案書別紙(先進医療 B 又は患者申出療養制度によるエビデンス創出研究用)(治験を実施できない理由、先進医療 B 又は患者申出療養の適合性、費用の算定根拠、研究終了後に当該医療を患者への提供計画等)	ı	指定様式
4	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)又はプロトコール概要等(様式自由)	IV章 2 (4) (b)	様式自由 英語可
5	任	:意	提案する研究開発課題に関連する学術雑誌等に発 表した論文・著書、寄与した臨床指針・ガイドラ	-	

	インのうち、主なもの・最新のものの本文(5報	
	以内)	

※ 資料の位置づけは以下を参照すること。(「E-1」「E-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。**提出しない場合は、資料番号を付した上で「該当しない」又は「存在し**ない」と記載した文書を提出ください。

F. 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

(1) 研究開発課題名

F-1. モデル生物等研究コーディネーティングネットワークによる希少・未診断疾患の病因遺伝子変異候補の機能解析研究(モデル生物)

(2) 背景及び目標

AMED は現在、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、次世代シークエ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 IRUD^{※1}を推進している。2015年7月の研究開始以降、世界初の疾患の同定等目覚ましい成果をあげてきた一方で、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症例の原因究明には至っていない。診断を確定できない症例の中には、既に病因遺伝子変異候補を一定数にまでに絞り込むことのできた "N-of-1" (新規疾患の示唆)症例も多く残されており、さらなる追究が望まれている。

この解決を目論み、平成 29 年度 3 次公募で IRUD Beyond の一つ、Beyond genotyping として、カナダで行われているネットワーク型の体制*2 に準じてモデル動物等コーディネーティングネットワークを立ち上げた。これは IRUD 研究班の研究者(以下、「IRUD 研究者」という。)が見出した遺伝子変異の病的意義の検証を目的として、当該遺伝子等に関して線虫、ショウジョウバエ、メダカ、ゼブラフィッシュ等の生物を用いて研究を行っている研究者(以下、「モデル生物等研究者」という。)とマッチングし、機能解析に取り組むというもので、令和元年 6 月時点で 102 件のマッチングを行い検討が進められている。

本公募研究開発課題では、引き続き "N-of-1"からの新規疾患の確立を最終目標として、モデル生物等コーディネーティングネットワークを立ち上げ、原因遺伝子変異候補の機能解析を推進する。これにより、画期的な診断・治療・予防法の開発につなげることを目標とする。

具体的には、モデル生物等コーディネーティングネットワーク委員会(以下、「委員会」という。)が、IRUD 等で見つかってきた病因遺伝子変異候補の情報を有する臨床研究者からの解析依頼を受け、全国の最適なモデル生物等を用いて遺伝子機能を解析する研究者を臨床研究者に紹介し、マッチングにより 1 年間期限(原則)の「研究チーム」を設立する。「研究チーム」は、以下の事項を達成することを目標とする。疾患の病因遺伝子変異候補について、遺伝子発現分布、モデル生物等を作出して表現型の解析、更には

ヒトホモログ導入による回復性検討等の方法でバリデーションを行い、臨床現場への情報の提供を最優先 事項として実施する。

更に、以下の事項を実施する。

- 疾患メカニズムを解析する。
- · 治療方法の理論を構築する。
- ・・基礎研究者と臨床研究者の長期にわたる共同体制創出を促進する。
- %1 https://www.amed.go.jp/program/IRUD/index.html
 http://irud.umin.jp/
- <u>http://rare-diseases-catalyst-network.ca/news_reports.html</u>

 https://j-rdmm.org/

(3) 求められる成果

- ・モデル生物等コーディネーティングネットワークの体制整備に係る詳細資料 (仕様書、会議議事録、 委員会規則、各種手順書、ポリシー等)。
- ・病因遺伝子変異候補のモデル生物等を用いた解析結果(臨床現場への提供情報、論文、特許出願等)。

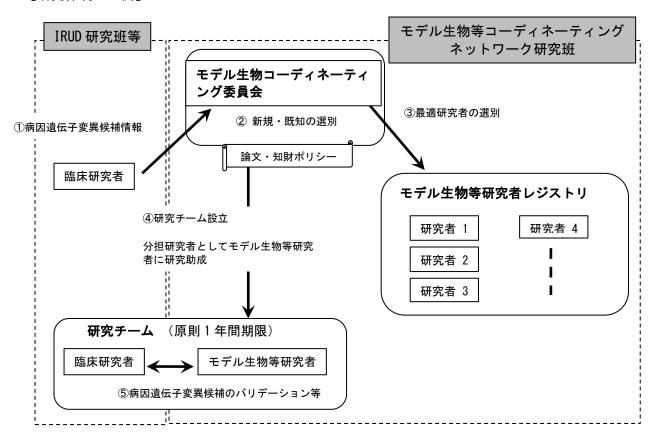
(4) 研究開発費の規模等

#	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
F-1	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	モデル生物等研究コーディ ネーティングネットワーク による希少・未診断疾患の 病因遺伝子変異候補の機能 解析研究(モデル生物)	1 課題あたり年間 76,000 千円程度 (間接経費を含ま ず)	最長3年 令和2年度~ 令和4年度	0~1 課題 程度

(5) 採択条件

- (a) 「委員会」は、臨床研究者の要望、モデル生物等研究者の技術内容を評価し、マッチングを推奨し、 原則として1年間期限*の「研究チーム」を設立すること。研究開発期間中、毎年 30 件程度のマッチ ングにより「研究チーム」を立ち上げられること。
 - ※ IRUD では、患者に一刻も早く結果を返すため、IRUD 解析センターが臨床研究者から検体を受領して原則半年以内に結果を返却する事としている。本公募における IRUD 等の研究成果の発展においても上記及び海外の研究動向を鑑み、このような期間設定とした。
- (b) 「委員会」は、「研究チーム」設立のため以下のような体制及び基盤を整えられること。
 - 1) 「委員会」は、公平性を確保するため、臨床研究者、モデル生物等研究者の複数の最適なメンバーで構成されるものとし、臨床研究者からの依頼先窓口の設定とその情報の Web 等での公開を迅速に行う。
 - 2) 「研究チーム」設立のための最低限の合意条件として、同チームによる研究推進により得られた 成果を論文報告、特許出願する際の規則を文書化して公開する。
 - 3)世界のモデル生物等を用いた遺伝子変異の研究状況が登録されたデータベース等を活用あるいは 構築し、既知と新規のものを選別できるシステムを整える。
 - 4) 全国のモデル生物等研究者に対して、未診断疾患解明の意義、「研究チーム」設立合意条件 ((b) 2) 項)をセミナー等で説明し、解析に協力できる研究者を募り、「モデル生物等研究者レジストリ」を作成する。研究契約締結から3ヶ月以内に稼動できるようにすること。本課題採択後2年目には、世界の未診断疾患の研究者からの要請を受け入れることも想定し、英語化されたものを作成すること。
- (c) 「委員会」は、以下の点を踏まえて「研究チーム」を設立できること。
 - 1) 臨床研究者とよく協議し、病因遺伝子変異候補が 1 症例に 1 遺伝子等、少数に絞り込まれている ものを優先的に取り上げるようにする。
 - 2) 臨床研究者からの協力依頼があれば、当該遺伝子に関する既知の情報は、臨床研究者に速やかに 情報を提供し、新規に限り、モデル生物等研究者とのマッチングによる研究推進を進める。
 - 3) 患者への結果のフィードバックを最優先に位置づけるため、原則として 1 年期限で可能な限り早く結果を得ることのできるモデル生物 (線虫、ショウジョウバエ、メダカ、ゼブラフィッシュ等) 等を用いた解析を優先する。時間と費用を要する生物を用いた解析は、これらでは対応できないケースに限定する。
 - 4)要件を満たしてマッチングに成功した「研究チーム」のモデル生物等研究者については、研究開発課題の分担研究者とし、委託研究費の中から適正な研究費を助成する。IRUD 研究者等との連携体制の確立のため、マッチング後は速やかに意見交換の場を持ち、効率的に共同研究を進めていくための方法を考案し活用する。

【研究体制の一例】



(6) 留意事項

- (a)「委員会」の役割について
 - 1) 「委員会」による「モデル生物等研究者レジストリ」の構築には、NBRPとの連携を考慮する。
 - 2) 本プロジェクトで確立した疾患モデル生物は、難治性疾患実用化研究事業で支援する治療法開発研究における利活用やナショナルバイオリソースプロジェクト (NBRP)*への寄託を行うこと。
 - * http://www.nbrp.jp/
- (b) 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係する指針等を明示すること。
- (c) 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(モデル生物等コーディネーティングネットワーク用)を「モデル生物等解析プラン」として添付すること。
 - 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。
- (7) 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	III. 章、IV. 章	指定様式
2	必須	研究開発提案書要約(英語及び日本語)	III. 章、IV. 章	指定様式
3	必須	研究開発提案書別紙(モデル生物等コーディネーティングネットワーク用)	-	指定様式
4	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。**提出しない場合は、資料番号を付した上で「該当しない」又は「存在し** ない」と記載した文書を提出ください。

G. 希少難治性疾患に関する全ゲノム医療の推進等に資する研究分野

(1) 研究開発課題名

G-1. 全エクソームシークエンス解析でも未解決の疾患に対する新技術による診断法の開発(全ゲノム 1 /未解決)

G-2. 有効な治療法がない希少難治性疾患を対象とした新世代解析技術による病態解明と治療シーズ探索につながる研究 (全ゲノム2/マルチオミックス)

G-3. 難病克服のための成人発症型難病の Deep-Phenotyping の統合解析を通じた開発研究(全ゲノム3/成人発症)

(2) 背景及び目標

「経済財政運営と改革の基本方針(骨太方針2019)」では、全ゲノム解析などによる難病の早期診断に向けた研究等を着実に推進することが決定され、「難病に関するゲノム医療の推進に関する検討会」や「ゲノム医療実現推進協議会」等にて、これまでの取り組みと課題を整理した上で体制整備・人材育成を含めた具体的な実行計画の策定が進められている。

また、IRUDでは、未診断状態にある患者に対する遺伝学的解析結果等を主治医へ提供する全国的な体制整備を進めてきた。次世代シークエンサーの活用と国際的なデータベースとの連携、国内及び国際的なケースマッチング等により未診断状態にある症例の 30%以上が新規疾患又は既知の疾患の範囲であることが確認されたものの、国際的な N-of-1 のマッチングや、今までの「オミックス解析を通じて希少難治性疾患の医療に貢献する基盤研究」(以下「オミックス解析拠点」という。)での研究でも解決出来ない病態が残され解明を待っている。

「G-1. 全エクソームシークエンス解析でも未解決の疾患に対する新技術による診断法の開発(全ゲノム 1 / 未解決)」においては、これらの解決を図るための新技術を応用するスキームを提案し、全エクソーム解析では未解決のサンプルを解析して、その結果について解析結果等の提供を通じて臨床現場等に還元することで、さらに医療実装に向けたエビデンスを提示する。具体的には、IRUD 研究体制やオミックス解析拠点等の全エクソーム解析を実施する研究機関等と協力し、全エクソーム解析では未解決の患者検体等を解析するための新技術(ロングリード WGS を含む全ゲノムシークエンス等を用いた新しい解析技術)もしくは既存の技術を含む解析方法の新しい組み合わせスキーム等を提案、実施する。

「G-2. 有効な治療法がない希少難治性疾患を対象とした新世代解析技術による病態解明と治療シーズ探索につながる研究 (全ゲノム2/マルチオミックス)」では、オミックス解析拠点による基盤研究(希少難治性疾患の患者検体の解析を請け負い、オミックス解析を駆使し希少難治性疾患の発症に関与する生命現象を新規に発見し、その結果について解析結果等の提供を通じて臨床現場等に還元するとともに、オミックス解析データを治療法、診断法開発のための基盤情報として他の研究への供出する)を発展させる。具体的には全国の医療機関から広く患者検体を受け付け、全ゲノム解析を含むマルチオミックス解析、phenotype 情報の集約化を含めた網羅的検討を実施し、希少難治性疾患の発症に関与する生命現象の新規発見、臨床現場等への還元、創出された解析技術及びデータを、治療法、診断法開発のためのデータ基盤情報として他の研究へ供出し積極的に開発を支援する。

「G-3. 難病克服のための成人発症型難病の Deep-Phenotyping の統合解析を通じた開発研究(全ゲノム3/成人発症)」では、国際的なゲノムコンソーシアム等において議論されている「ゲノム情報に臨床情報やライフスタイル等の環境要因を合わせた Genome-Phenome 統合解析」等の方法を活用し、複数の遺伝子が関与する疾患群に対する層別化を進め、その成果を示すことにより、将来的に単一遺伝子疾患にとどまらず多くの多因子疾患における個別化医療の実現につながる解析手法のモデルを提示する。具体的には、全国の医療機関から対象患者(未発症変異保有者等を含む)をリクルートする体制を整備し、全ゲノム解析を含むマルチオミックス解析に加え、Deep-phenotype 情報*の集約化を含めた網羅的検討を行う。

※本公募における Deep-phenotype 情報とは、個人がもつ身体的特徴を精密かつ網羅的に表現する臨床表現型情報であり、疾病原因や発症機序の分子レベルでの理解による、きめ細やかな疾患層別化分類とそれに基づく創薬を実現するための人工知能(AI)などを用いた横断的なビッグデータ解析にも活用できるものとする。

解析等により画期的な診断・治療・予防法の開発につながる事が最終的な目標となるが、本公募課題では具体的には、以下を目標とする。

【共通部分】

- (a) 希少難治性疾患の発症に関与する生体分子あるいは生命現象の発見や同定
- (b) 臨床現場への情報等の提供、必要に応じた医療としての検査への協力
- (c) 希少難治性疾患の診断率向上のための全ゲノム解析等の技術開発
- (d) 年度毎の「解析、解決、データシェアリング」の目標(数) 等の設定とその達成

- (e) 大学等のゲノムデータサイエンティスト育成プログラム等を活用し、研究を通じて得られたデータの解析を 実行しながら専門的な教育を受ける機会(ゲノムデータサイエンティストの On the Job training)の提供 と人材育成の実施
- (f) 他の研究者と積極的なデータの共有、及び AMED Genome group sharing Database (以下「AGD」という。)、Medical Genomics Japan Variant Database (以下「MGeND」という。)、難病プラットフォーム、その他 AMED が指定する公的データベース (NBDC ヒトデータベース (JGA/NHA/DRA 等))等への臨床情報や解析・解釈結果等を含む研究成果の共有
- (g) 「成長戦略実行計画・成長戦略フォローアップ・令和元年度革新的事業活動に関する実行計画」(令和元年6月21日閣議決定)に基づき、令和元年中の策定を目途に厚生労働省において検討されている難病等に関する全ゲノム解析等の実行計画への協力

【研究開発課題毎】

- (h) 「G-2. 有効な治療法がない希少難治性疾患を対象とした新世代解析技術による病態解明と治療シーズ 探索につながる研究 (全ゲノム2/マルチオミックス)」では、病態メカニズムの解明、in silico でのドラッグ設計など創薬シーズの開発につながる技術開発と他の研究班への技術支援
- (i) 「G-3. 難病克服のための成人発症型難病の Deep-Phenotyping の統合解析を通じた開発研究(全ゲノム 3/成人発症)」では、成人発症の希少難治性疾患の早期診断、病態の進行予測、早期介入につなげるための情報を明らかにするための解析技術等の開発

(3) 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。そこで、本公募枠では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データシェアリングポリシーを推進している。本研究分野で支援する研究開発課題に参画する研究開発代表者・研究開発分担者は、我々が定めたデータシェアリングポリシーに則り、研究開発において得られるゲノム情報等のデータマネジメントプランを作成し、あらかじめ定められた期日までに 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る。

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重視する項目であり、採択課題の継続に考慮される評価項目の一つである。以上の事を踏まえ、本研究分野への応募に当たってはデータシェアリングポリシーを必ず確認すること。データマネジメントプランは研究開発計画書別紙(データマネジメントプラン)として提出すること。

データシェアリングポリシー https://www.amed.go.jp/content/000051323.pdf

(4) 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。年度途中の進捗状況調査時および年度終了毎に解析状況やデータシェアリングの目標数と達成数等の情報(以下、トラックレコード)の提出を求めるが、AMEDが求めた際は、委託研究開発期間内であるなしに関わらず、当該情報を AMED に提出すること。

【共通部分】

- (a) 希少難治性疾患の発症に関与する生体分子あるいは生命現象の発見や同定の成果を示す資料(原著論文と、原著論文のリファレンス数等)
- (b) 関連の検体検査等に関する新規特許出願に関する資料
- (c) 受入検体数、解析検体数、情報の返却数の年度毎の目標数と達成数 (トラックレコード)
- (d) 「ゲノム医療実現のためのデータシェアリングポリシー」に準じ、AGD、 MGeND 、難病プラットフォーム、その他 AMED が指定する公的データベース(NBDC ヒトデータベース(JGA/NHA/DRA 等))等に臨床情報や解析・解釈結果等の共有(データシェアリングへの貢献)状況を示す資料、年度毎のトラックレコード
- (e) ゲノムデータサイエンティスト育成の実績
- (f) 「成長戦略実行計画・成長戦略フォローアップ・令和元年度革新的事業活動に関する実行計画」(令和元年6月21日閣議決定)に基づき、令和元年中の策定を目途に厚生労働省において検討されている難病等に関する全ゲノム解析等の実行計画への協力結果

【研究開発課題毎】

- (f) 「G-2. 有効な治療法がない希少難治性疾患を対象とした新世代解析技術による病態解明と治療シーズ探索につながる研究 (全ゲノム2/マルチオミックス)」では、病態メカニズムの解明、in silico でのドラッグ設計など創薬シーズの開発につながる技術開発の成果を示す資料。(原著論文と知財等に関する資料)
- (g) 「G-3. 難病克服のための成人発症型難病の Deep-Phenotyping の統合解析を通じた開発研究(全ゲノム3 /成人発症)」では、成人発症の希少難治性疾患の早期診断、病態の進行予測、早期介入につなげるための情報を明らかにするための解析技術等の開発。(原著論文と知財等に関する資料)

(5) 研究開発費の規模等

	- Albahabase Assabe a						
#	分野等	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		
G-1	希少難治性	全エクソームシークエンス解析でも未解決の疾患に対する新技術による診断 法の開発 (全ゲノム1/未解決)	1課題あたり年間 140,000 千円程度 (間接経費を含まず)	最長3年 令和2年度~令 和4年度	0~2 課題 程度		
G-2	疾患に関す る全ゲノム 医療の推進 等に資する	有効な治療法がない希少難治性疾患を 対象とした新世代解析技術による病態 解明と治療シーズ探索につながる研究 (全ゲノム2/マルチオミックス)	1 課題あたり年間 120,000 千円程度 (間接経費を含まず)	最長3年 令和2年度~令 和4年度	0~5 課題 程度		
G-3	研究分野	難病克服のための成人発症型難病の Deep-Phenotyping の統合解析を通じた 開発研究 (全ゲノム3/成人発症)	1課題あたり年間 110,000千円程度 (間接経費を含まず)	最長3年 令和2年度~令 和4年度	0~2 課題 程度		

⁽注)本公募研究開発課題では、予定する解析検体数等に応じ研究開発費が大幅に調整されることがあるので留意すること。 同一研究グループは G-1、G-2、G-3 のうちいずれか一つの公募研究開発課題にのみ応募できるものとする。

(6) 採択条件

【共通部分】

- (a) 大学等のゲノムデータサイエンティスト育成プログラム等を活用し、研究を通じて得られたデータの解析を実行しながら専門的な教育を受ける機会(ゲノムデータサイエンティストの On the Job training)の提供と人材育成を行う計画であること。
- (b) 戦略的に知的財産権を確保し、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と契約して実施でき、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が体制に加わっていること。
- (c) 過去のゲノム解析を含むオミックス解析の研究実績を提案書別紙に明記すること。実績も踏まえ、実現可能な研究開発計画であること。
- (d) 「成長戦略実行計画・成長戦略フォローアップ・令和元年度革新的事業活動に関する実行計画」(令和元年6月21日閣議決定)に基づき、令和元年中の策定を目途に厚生労働省において検討されている難病等に関する全ゲノム解析等の実行計画への協力に同意すること。また、課題採択にあたり、必要に応じ、当該実行計画に基づく協力内容について研究開発計画書に追加すること。

【研究開発課題毎】

- (e) 「G-1.全エクソームシークエンス解析でも未解決の疾患に対する新技術による診断法の開発(全ゲノム1/未解決)」では、IRUD研究体制^{*1}、オミックス解析拠点^{*2}等、全エクソーム解析を実施する研究機関と協力、もしくはこれらの研究事業を継承し、全エクソーム解析では未解決の症例の解決を解析するための新技術(全ゲノム解析を含むマルチオミックス解析情報、phenotype 情報の集約化を含めた網羅的検討等)もしくは既存の技術を含む解析方法の新しい組み合わせスキーム等を提案、実施する計画であること。
- (f) 「G-2.有効な治療法がない希少難治性疾患を対象とした新世代解析技術による病態解明と治療シーズ探索につながる研究(全ゲノム2/マルチオミックス)」では、全ゲノム解析を含むマルチオミックス解析、phenotype情報の集約化を含めた網羅的検討により、希少難治性疾患の病態解明、治療法開発研究等の支援及び解析結果等の提供により臨床現場に還元する計画であること。
- (g) 「G-2.有効な治療法がない希少難治性疾患を対象とした新世代解析技術による病態解明と治療シーズ探索につながる研究(全ゲノム2/マルチオミックス)」では、他の難治性疾患実用化研究事業の研究との共同研究及び技術支援体制を保有すること。
- (h) 「G-3. 難病克服のための成人発症型難病の Deep-Phenotyping の統合解析を通じた開発研究(全ゲノム3) / 成人発症)」では、全ゲノム解析を含むマルチオミックス解析、Deep-phenotype 情報の集約化を含めた

網羅的検討により、成人発症の希少難治性疾患の病態解明、診断、治療法開発研究等の臨床現場への還元の双方に貢献できる計画であること。

- (i) 「G-3. 難病克服のための成人発症型難病の Deep-Phenotyping の統合解析を通じた開発研究(全ゲノム3 /成人発症)」では、全国の医療機関から対象患者(未発症変異保有者等を含む)をリクルートする体制を整備する研究計画であること。(IRUD によって構築された拠点病院ネットワーク等を活用する計画であることが望ましい。)
 - %1 https://www.irud.jp/hospital.html
 - **X2** https://www.amed.go.jp/koubo/01/05/0105C_00147.html

(7) 留意事項

- (a) 最終目標までのロードマップを念頭に内容・時期等が適切、かつ明確なマイルストンを設定すること。 各タスク(分担研究等)の開始時期、完了時期、担当者に加え各タスクの依存関係(前後関係)を示す
- (b) 遵守すべき研究に関係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。
- (c) 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。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。
- (d) 検体の分析・保管が必要な場合には、試料のリ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) 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。)
- (f) 「G-3. 難病克服のための成人発症型難病の Deep-Phenotyping の統合解析を通じた開発研究(全ゲノム3 /成人発症)」では、対象とする疾患の症例数を鑑み、必要に応じて国際連携の実施状況や実施計画、効果的に統合解析を実施するための方策等について提案書に記載すること。
 - ※「XI章 A. (6) (b) 1) 特記事項」を参照ください。

(8)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※	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	Ⅲ章、Ⅳ章	指定様式
2	必須	研究開発提案書要約(英語及び日本語)	Ⅲ章、Ⅳ章	指定様式
3	必須	研究開発提案書別紙 (データマネジメントプラン) および研究 開発提案書別紙 (難病に関する全ゲノム医療の推進等に資する 研究用)	V章 9 (4)	指定様式
4	必須	提案する研究開発課題で実施する実験、研究に関する研究プロトコール(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)又はプロトコール概要等(様式自由)	IV章 2 (4) (b)	様式自由 英語可
5	任意	提案する研究開発課題に関連する学術雑誌等に発表した論文・ 著書、寄与した臨床指針・ガイドラインのうち、主なもの・最 新のものの本文	-	現在の進捗 段階に応じ て、相当す る書類を添
6	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	-	付すること。

7	l 任意	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)	_	
---	------	--	---	--

※ 資料の位置づけは以下を参照すること。

資料ついては、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。<u>提出しない場合は、資料番号を付した上で「該当しない」又は「存在しない」と記載した文書を提出</u>ください。



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 令和元年11月