



令和 3 年度

公募要領

難治性疾患実用化研究事業

(1次公募)

令和 2 年 1 1 月

国立研究開発法人 日本医療研究開発機構

創薬事業部	創薬企画・評価課
医療機器・ヘルスケア事業部	医療機器研究開発課
再生・細胞医療・遺伝子治療事業部	遺伝子治療研究開発課
ゲノム・データ基盤事業部	医療技術研究開発課
疾患基礎研究事業部	疾患基礎研究課

目次

第 1 章 はじめに.....	4
1.1 事業の概要	4
1.1.1 事業の現状	4
1.1.2 事業の方向性	4
1.1.3 事業の目標と成果	4
1.2 事業の構成	4
1.2.1 事業実施体制	4
1.2.2 代表機関と分担機関の役割等	5
第 2 章 応募に関する諸条件等	6
2.1 応募資格者	6
2.2 応募に当たっての留意事項	7
2.2.1 委託研究開発契約について	7
2.2.2 府省共通研究開発管理システム（e-Rad）について	7
2.2.3 安全保障貿易管理について（海外への技術漏洩への対処）	7
2.2.4 若手研究者の積極的な参画・活躍について	8
2.2.5 データシェアリングについて	8
2.2.6 治験〔医師主導治験/企業治験〕又は臨床試験の研究開発提案の際の要件について（一部非臨床試験を含む）	9
第 3 章 公募研究開発課題	12
3.1 研究開発費の規模・研究開発期間・採択課題予定数等について	12
3.2 公募研究開発課題の概要について	13
第 4 章 スケジュール・審査方法等.....	14
4.1 公募期間・選考スケジュール	14
4.2 提案書類の審査方法	15
4.2.1 審査方法	15
4.2.2 審査項目と観点	16
4.3 AMED における課題評価の充実	17
第 5 章 提案書等の作成・提出方法.....	18
5.1 提案書類の作成	18
5.1.1 応募に必要な提案書類	18
5.1.2 提案書類様式の入手方法	18
5.1.3 提案書類の様式及び作成上の注意	18
5.2 研究開発提案書以外に必要な提出書類等について	19
5.3 提案書類の提出方法	19
5.3.1 e-Rad での提出状況の確認	19
5.3.2 e-Rad の使用に当たっての留意事項	20
5.3.3 e-Rad の操作方法に関する問合せ先	20
5.4 研究費の不合理な重複及び過度の集中の排除	20
5.4.1 不合理な重複に対する措置	20
5.4.2 過度の集中に対する措置	21
5.4.3 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	21
5.4.4 他府省を含む他の競争的資金等の応募・受入状況	21

第 6 章 情報の取扱い	22
6.1 提案書類等に含まれる情報の取扱い	22
6.1.1 情報の利用目的	22
6.1.2 必要な情報公開・情報提供等	22
第 7 章 採択後契約締結までの留意点	24
7.1 採択の取消し等について	24
7.2 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	24
7.3 契約締結の準備について	25
7.4 データマネジメントプランの提出	25
第 8 章 委託研究開発契約の締結等	26
8.1 委託研究開発契約の締結	26
8.1.1 契約条件等	26
8.1.2 契約に関する事務処理	26
8.1.3 年度末までの研究開発期間の確保について	26
8.1.4 委託研究開発費の額の確定等について	26
8.2 委託研究開発費の範囲及び支払い等	27
8.2.1 委託研究開発費の範囲	27
8.2.2 委託研究開発費の計上	27
8.2.3 研究機器の共用促進に係る事項	28
8.2.4 委託研究開発費の支払い	28
8.2.5 費目間の流用	28
8.2.6 間接経費に係る領収書等の証拠書類の整備について	28
8.2.7 委託研究開発費の繰越	28
8.3 取得物品の取扱い	29
8.3.1 取得物品の帰属	29
8.3.2 取得物品の研究開発期間終了後の取扱い	29
8.3.3 放射性廃棄物等の処分	29
第 9 章 採択課題の進捗管理	30
9.1 課題の進捗管理	30
9.2 中間評価・事後評価等	30
9.3 成果報告会等での発表	30
第 10 章 研究開発成果の取扱い	32
10.1 論文謝辞等における体系的番号の記載について	32
10.2 研究開発成果報告書の提出と公表	32
10.3 研究開発成果の帰属	32
10.4 研究開発成果の実用化に向けた措置	32
10.5 医療研究者向け知的財産教材	33
10.6 研究開発成果のオープンアクセスの確保	33
10.7 データの取扱い	33
第 11 章 本事業を実施する研究機関・研究者の責務等	34
11.1 法令の遵守	34
11.2 委託研究開発費の執行についての管理責任	34
11.3 研究倫理教育プログラムの履修・修了	34
11.3.1 履修対象者・履修プログラム・教材について	35
11.3.2 履修時期について	35

11.3.3 研究機関等の役割・履修情報の報告について	35
11.4 利益相反の管理について	36
11.4.1 AMED の「研究活動における利益相反の管理に関する規則」に基づく利益相反管理	36
11.4.2 臨床研究法施行規則第 21 条に基づく利益相反管理	36
11.4.3 利益相反管理状況報告書の提出について	36
11.5 法令・倫理指針等の遵守について	37
11.6 体制整備等に関する対応義務	38
第 12 章 不正行為・不正使用・不正受給への対応	39
12.1 不正行為・不正使用・不正受給の報告及び調査への協力等	39
12.2 不正行為・不正使用・不正受給が認められた場合について	39
12.2.1 契約の解除等	40
12.2.2 申請及び参加資格の制限	40
12.2.3 他の競争的資金制度等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	42
12.2.4 他の競争的資金制度等で不正行為等を行った疑いがある場合について	42
12.2.5 不正事案の公表	42
12.3 AMED RIO ネットワークへの登録について	42
第 13 章 その他	43
13.1 国民や社会との対話・協働の推進	43
13.2 医学研究・臨床試験における患者・市民参画（PPI）の推進	43
13.3 健康危険情報	44
13.4 リサーチツール特許の使用の円滑化	44
13.5 知的財産推進計画に係る対応	44
13.6 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	45
13.7 シーズ・ニーズのマッチング支援システム	45
13.8 創薬支援ネットワーク及び創薬事業部による支援	45
13.9 革新的医療技術創出拠点によるシーズ育成・研究開発支援	46
13.10 研究者情報の researchmap への登録	46
13.11 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	47
13.12 各種データベースへの協力	47
第 14 章 お問合せ先	49
第 15 章 公募研究開発課題の概要	51
A. 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	51
B. 希少難治性疾患に対する画期的な医療機器の実用化に関する研究分野	58
C. 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	62
D. 診療に直結するエビデンス創出研究分野	68
E. 希少難治性疾患の研究及び実用化に資する情報基盤活用研究分野	71
F. 希少未診断疾患に対する診断プログラムの開発に関する研究	74
G. 希少難治性疾患の克服に結びつく病態解明研究分野	77

第1章 はじめに

本公募要領は、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。

1.1 事業の概要

1.1.1 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

1.1.2 事業の方向性

難病は、その種類が多い一方で症例数が少ないという制約の中で病態解明や治療法の開発を行う特性を踏まえる必要があります。厚生労働科学研究における難病の実態把握、診断基準・診断ガイドライン等の作成等に資する調査及び研究から、AMEDにおける実用化を目指した基礎的な研究、診断法、医薬品等の研究開発まで、切れ目なく実臨床につながる研究開発が行われるよう、厚生労働省と連携し、患者の実態とニーズを十分に把握したうえで、研究開発のマネジメントを行います。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。

1.1.3 事業の目標と成果

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。

1.2 事業の構成

1.2.1 事業実施体制

AMEDは、国が定める「医療分野研究開発推進計画」^{*}に基づき、医薬品、医療機器・ヘルスケア、再生・細胞医療・遺伝子治療、ゲノム・データ基盤、疾患基礎研究及びシーズ開発・研究基盤の6つの統合プロジェクトを中心とする研究開発を推進しています。また、競争的資金等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、各統合プロジェクトに、プログラムディレクター（以下「PD」という。）を、各事業に、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。）を配置しています。さらに、各統合プロジェクトを横断する形で行われる「がん、生活習慣病、精神・神経疾患、老年医学・認知症、難病、成育、感染症等」の疾患領域に関連した各事業については、その疾患領域ごとに、柔軟にそのマネジメントを行うため、疾患領域コーディネーター（以下「DC」という。）を配置しています。

なお、PS、PO等は、本事業全体の進捗状況を把握し、事業の円滑な推進のため、必要な指導・助言等を行います。また、研究機関及び研究者は、PS、PO等に協力する義務を負います。

PS、PO 等による指導、助言等を踏まえ、研究開発課題に対し必要に応じて計画の見直しや中止（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/index.html>

1.2.2 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、第2章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第8章を参照してください。

第2章 応募に関する諸条件等

2.1 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。

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。

（1）以下の（A）から（H）までに掲げる研究機関等に所属していること。

- (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) 公設試験研究機関^{※4}
- (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^{※5}
- (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 内閣府に置かれる試験研究機関や国家行政組織法第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 地方公共団体の附属試験研究機関等

※5 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

2.2 応募に当たっての留意事項

2.2.1 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。なお、詳細は第 8 章を参照してください。

2.2.2 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。）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、第 5 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。

2.2.3 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により、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け入れや、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。

○経済産業省：安全保障貿易管理（全般）

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

○経済産業省：安全保障貿易ハンドブック

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

○一般財団法人安全保障貿易情報センター

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

○安全保障貿易に係る機微技術管理ガイド（大学・研究機関用）

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

2.2.4 若手研究者の積極的な参画・活躍について

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の各事業においては、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、教授の下で教授の研究の一部を担っているような若手研究者自身がPI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。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、第3章を参照してください。

(1) 登用される若手研究者の自発的な研究活動について

「競争的研究費においてプロジェクトの実施のために雇用される若手研究者の自発的な研究活動等に関する実施方針」（令和2年2月12日競争的研究費に関する関係府省連絡会申し合わせ）に基づき、本事業から人件費を支出しつつ、本事業で登用される若手研究者のエフォートの一定割合（20%を上限とする。）について、研究開発代表者等が当該研究開発の推進に支障がなく、かつ推進に資すると判断し、所属研究機関からの承認が得られた場合は、自発的な研究活動や研究・マネジメント能力向上に資する活動への充当を可能としております。詳細は、AMEDウェブサイト「事業手続き（様式集など）」>「事務処理説明書・様式集」※にて確認してください。

※ <https://www.amed.go.jp/keiri/index.html>

2.2.5 データシェアリングについて

医療分野において、研究開発成果として生み出されたデータの取扱いについては、同じ問題意識を持つ研究者にとっても有用なものであるため、研究者間のデータシェアリングの重要性が認識されています。これと同時に、公的資金によって実施される研究開発によって生み出されたデータをめぐっては、その公共性・公益性の高さから、リポジトリー登録や適時公開等を行うことで、それらの2次的な利活用の可能性の拡大を図ろうとする動きがあります。加えて、研究開発の実用化を目指すため、詳細で正確な臨床情報やゲノム情報等のデータを大学や研究所といった学術研究機関

のみならず、産業利用を担う民間企業等の産業界が協働し、新たな診断法や治療法の開発を行うことが求められています。

AMED では、全ての委託研究開発事業の契約締結時において、データマネジメントプランの提出を義務づけ、研究開発データの定義や取扱い等に関するポリシーと具体的な運用指針をまとめた「AMED 研究データ利活用に係るガイドライン」^{*}を策定し、AMED ウェブサイトで公開しています。なお、データマネジメントプランの提出についての詳細は第 7 章を参照してください。

また、AMED の公的資金を用いた各委託研究開発に共通で適用される委託研究開発契約においては、委託研究開発に関連して創出、取得又は収集されるあらゆる研究開発データを第三者に開示又は提供することを原則として禁止した上で、あらかじめ AMED が公表するデータに関するガイドライン上で許容されている場合又はあらかじめ AMED の承諾を得た場合に限り、第三者に開示又は提供することを可能としています。

さらに、研究開発データを非制限公開データ、制限公開データ、制限共有データ、非公開データに分類するとともに、研究開発データのうち、第三者に公開することが適切ではないデータ以外のデータについては、非制限公開データ又は制限公開データのいずれか指定し、公開することを求めています。そして、非制限公開データ又は制限公開データに該当するデータであっても、公開されるまでの間は制限共有データとして、特定の第三者とのみ共有することも許容しています。詳しくは、「AMED 研究データ利活用に係るガイドライン」^{*}を参照してください。

* <https://www.amed.go.jp/koubo/datamanagement.html>

2.2.6 治験〔医師主導治験/企業治験〕又は臨床試験の研究開発提案の際の要件について（一部非臨床試験を含む）

AMED では、実用化を目指した研究を推進していくこととしており、そのうち、革新的な医薬品や医療機器等の創出を念頭に置いた、治験〔医師主導治験/企業治験〕（以下「治験」という。）や臨床試験及びそれらを目指した非臨床試験^{*}を行う研究については、研究開発提案時、治験又は臨床試験開始時等のそれぞれの開発段階において、適切な資料の用意及び AMED への提出を研究開発代表者に対し求めることとしています。

以下は、そのうち、主に研究開発提案時に提出を求める資料を中心にまとめたものになります。（別表参照）。

ただし、別表にあてはまらない研究については、それぞれの研究内容に応じて、AMED 側で PD、PS、PO と相談し、適時、適切な資料の用意及び提出を求ることとします。

* 非臨床試験とは、医薬品等候補選定の最終段階以後に実施される薬理学試験、毒性試験、薬物動態試験等を、主に念頭に置いています。

（1）工程表（ロードマップ）

研究開発提案から企業への導出等を通じた新医薬品・医療機器・再生医療等製品承認又は新効能追加等の出口までの全体のスケジュールがわかる工程表を作成し、研究開発提案する研究がその中でどの位置づけになるかを明示してください。

（2）治験又は臨床試験実施計画書

企業への導出等を通じた新医薬品・医療機器・再生医療等製品承認又は新効能追加等の出口を見据えた開発・実用化研究（一部非臨床試験を含む）においては、研究開発提案時点において治験

又は臨床試験実施計画書が作成されていることが最も望ましく、その計画書において試験全体の工程表及び実現可能なマイルストンが明記されている必要があります。

(3) レギュラトリーサイエンス戦略相談等

新医薬品創出のための承認申請を目指した臨床試験（治験）は省令 GCP に基づき実施する必要があります。非臨床試験の段階であっても新医薬品の創出を見据えた安全性試験等においては、GLP に基づき信頼性を担保した上で実施することが必要となります。また、再生医療等製品、医療機器を含めて、承認申請時に必要となる資料について、十分な理解の下で試験を遂行する必要があります。

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の PMDA 相談業務の対象範囲^{*}となる研究開発課題）においては、事前に PMDA のレギュラトリーサイエンス戦略相談等の相談（対面助言）により合意した研究開発計画にて実施していただくことになります。採択前に既にレギュラトリーサイエンス戦略相談等（対面助言）を受けている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も差し支えありません。なお、本公募に対する申請時点までにレギュラトリーサイエンス戦略相談等（対面助言）を受けていることは必須ではありませんがレギュラトリーサイエンス戦略相談等（対面助言）を受け、その相談結果を研究計画に反映させていることが望されます。

※ レギュラトリーサイエンス戦略相談に関する実施要綱（平成 29 年 3 月 16 日付）「2. 相談区分とその対象範囲」の項を参照

(4) 生物統計学の専門家／試験統計家／生物統計学者の関与

治験又は臨床試験を行う際、症例数の設定根拠がその試験の成功に極めて重要な役割を示します。試験全体の計画及び解析においては生物統計家（特に臨床試験・治験に参画した実績をもつことが望ましい）の関与は必須であり、申請時点で明記することが望されます。研究開発提案がコンセプトの段階である場合においても、生物統計家の関与について記載していただく必要があります。

(5) 知財担当者及び知財・成果導出に向けた戦略

企業への導出等を通じた新医薬品・医療機器・再生医療等製品承認の為の治験又は臨床試験においては、研究開発提案時点で知財担当者の有無に関する記載及び以下のとおり知財・成果導出に向けた戦略に関する記載を求めます。（企業が知財を有する場合は、可能な範囲で記載してください）

(A) 自己技術の状況

- ・特許出願しているか（している場合には技術内容と特許出願番号の記載、共有特許も含む）
- ・特許出願する予定があるか（どの技術・成果をいつ頃出願するか）

(B) 関連する他者技術の状況（研究開発提案時には可能な範囲で）

- ・他者特許の調査結果（調査のキーワードと特許データベースも記載）
- ・申請シーズとの関連性（自己技術利用の場合の制限等）

(C) 研究成果の企業導出（実用化）に対する方針

- ・既に企業と連携しているかどうか

(連携している場合は連携している知財の内容と今後の知財の活用方針)

- ・企業と連携する予定があるか

(どの技術・成果をいつ頃知財化して、どのように活用する方針か)

(6) 企業との連携状況

企業への導出等を通じた新医薬品・医療機器・再生医療等製品承認においては、企業との連携が重要です。研究開発提案時点において、試験結果の企業への導出や、企業シーズの場合、試験薬剤入手と安全性情報の入手などを含む企業との連携状況についての有無の記載をしていただきます。

(7) 有害事象等の把握・報告について

治験又は臨床試験の実施に当たっては、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ってください。なお、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 にも速やかに報告してください。

(8) 臨床研究実施計画番号について

臨床研究の実施に当たっては、臨床研究法で規定する臨床研究実施基準に基づき「臨床研究実施計画・研究概要公開システム」jRCT (Japan Registry of Clinical Trials) への登録が必要となります。臨床研究を実施する研究開発提案については、jRCT への臨床研究実施計画情報の登録により付番される「臨床研究実施計画番号」を提案書に明記してください。研究開発提案時点で jRCT への登録が完了していない臨床研究実施計画については、課題採択決定後、当該臨床研究の開始までに「臨床研究実施計画番号」を AMED に報告してください。

なお、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されています。「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。

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）

<https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000163417.html>

第3章 公募研究開発課題

公募の対象となる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第1章を、公募・選考の実施方法については第4章を、それぞれ参照してください。

3.1 研究開発費の規模・研究開発期間・採択課題予定数等について

#	分野等	公募研究開発課題名	研究開発費の規模	研究開発実施予定期間	新規採択課題予定数
①医薬品プロジェクト					
A-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	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 20,000千円程度 (間接経費を含まず)	最長3年 令和3年度～ 令和5年度	0～12課題 程度
A-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 60,000千円程度 (間接経費を含まず)	最長3年 令和3年度～ 令和5年度	0～6課題 程度
A-3		医薬品の治験 (医薬品ステップ2)	1課題あたり年間 80,000千円程度 ※ドラッグ・リボジ ショニングは 60,000千円程度 (間接経費を含まず)	最長3年 令和3年度～ 令和5年度	0～7課題 程度
②医療機器・ヘルスケアプロジェクト					
B	希少難治性疾患に対する画期的な医療機器の実用化に関する研究分野	医療機器の治験準備 (医療機器ステップ1)	1課題あたり年間 35,000千円程度 (間接経費を含まず)	最長3年 令和3年度～ 令和5年度	0～2課題 程度
③再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト					
C-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	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 20,000千円程度 (間接経費を含まず)	最長3年 令和3年度～ 令和5年度	0～4課題 程度
C-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 60,000千円程度 (間接経費を含まず)	最長3年 令和3年度～ 令和5年度	0～2課題 程度
C-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 80,000千円程度 (間接経費を含まず)	最長3年 令和3年度～ 令和5年度	0～2課題 程度
④ゲノム・データ基盤プロジェクト					
D	診療に直結するエビデンス創出研究分野	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 10,000千円程度 (間接経費を含まず) ※適応外の臨床研究を含む場合は 15,000千円程度 (間接経費を含まず)	最長3年 令和3年度～ 令和5年度	0～29課題 程度
E	希少難治性疾患の研究及び実用化に資する情報基盤活用研究分野	希少難治性疾患の研究及び実用化に資する情報基盤活用研究 (情報基盤活用研究)	1課題あたり年間 64,000千円程度 (間接経費を含まず)	最長3年 令和3年度～ 令和5年度	0～1課題 程度

F	希少未診断疾患に対する診断プログラムの開発に関する研究	未診断疾患イニシアチブ (IRUD)	1 課題あたり年間 420,000 千円程度 (間接経費を含まず)	最長 3 年 令和 3 年度～ 令和 5 年度	0～1 課題 程度
⑤疾患基礎研究プロジェクト					
G-1	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 3 年度～ 令和 5 年度	0～6 課題 程度
G-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)	1 課題あたり年間 5,000 千円程度 (間接経費を含まず)	最長 3 年 令和 3 年度～ 令和 5 年度	0～6 課題 程度

(注 1) 研究開発費の規模等はおおよその目安となります。

(注 2) 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。

(注 3) 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（詳細は第 5 章を参照してください）に該当しないことを確認するため、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。また、応募中の研究開発課題が採択された場合は、速やかに AMED の本事業担当課に報告してください。

(注 4) 「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）」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 3 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 56 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 53 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。

3.2 公募研究開発課題の概要について

第 15 章公募研究開発課題の概要を参照してください。

第4章 スケジュール・審査方法等

4.1 公募期間・選考スケジュール

本事業における提案書類の受付期間・選考スケジュールは、公募開始時点で以下のとおり予定しています。

提案書類の受付期間・選考スケジュール（なお、注1～注11に留意してください。）	
提案書類受付期間	令和2年11月18日（水）～令和2年12月16日（水）正午
書面審査	令和2年12月下旬～令和3年1月中旬（予定）
面接審査（ヒアリング審査）	令和3年1月27日（水）～29日（金）（予定）
採択可否の通知	令和3年2月下旬（予定）
研究開発開始（契約締結等）日	令和3年4月下旬（予定）

（注1）全ての提案書類について、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2）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。

（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）面接審査（ヒアリング審査）はWeb等により実施する場合があります。

（注5）面接審査（ヒアリング審査）を実施する対象課題の研究開発代表者に対しては、原則として面接審査（ヒアリング審査）の1週間前までに電子メールにてご連絡します（面接審査（ヒアリング審査）の対象外の場合や、面接審査（ヒアリング審査）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）。面接審査（ヒアリング審査）の実施や日程に関する情報更新がある場合は、第5章に記載の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。面接審査（ヒアリング審査）の対象か否かに関する個別回答はしかねます。

（注6）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7）面接審査（ヒアリング審査）の対象者は原則として研究開発代表者とします。面接審査（ヒアリング審査）の日程は変更できません。

（注8）面接審査（ヒアリング審査）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。

（注9）感染症の流行や災害等による社会的混乱等の不測の事態のため、面接審査（ヒアリング審査）の方法を変更したり、中止にする場合があります。また、面接審査（ヒアリング審査）が中止の場合は、書面審査期間を延長する場合があります。

（注10）採択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。

（注11）「研究開発開始（契約締結等）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等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。

4.2 提案書類の審査方法

4.2.1 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 理事長が指名する課題評価委員会を評価者とする事前評価（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。

さらに、AMED では、課題評価の質の一層の向上を図るとともに、研究開発環境の国際化に貢献するため、海外研究機関所属の研究者（国際レビュア）を事前評価の過程に加えることとしました。そのため、対象課題については、提案時に提案書において「外国為替及び外国貿易法に基づく輸出規制対象物品の有無について」の申告をお願いします。安全保障貿易管理についての詳細は第2章を参照してください。

- (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審査（ヒアリング審査）を行い、審議により評価を行います。なお、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。なお、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第9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合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、課題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、第6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、課題評価委員の利益相反マネジメントを行います。課題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できます。

- 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、課題評価委員に対し、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) 研究管理の適切性を確認する観点から、医薬品^{※1}、再生医療等^{※2}及び医療機器^{※3}について研究開発にかかるマネジメントに関する資料の提出を求めることがあります。また、必要に応じて、その内容の照会を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。

※1 https://www.amed.go.jp/koubo/iyakuhin_check.html

※2 https://www.amed.go.jp/koubo/saisei_check.html

※3 https://www.amed.go.jp/koubo/medical_device_check.html

(J) 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。

4.2.2 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ま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。なお、(※) を付した項目については、委員会としての評価権限のある委員の半数以上が「不適」と判断した場合に不採択とする取扱いとします。

- (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
 - ・社会的ニーズへ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／過度の集中はないか（※）

(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
- ・「希少難治性疾患における診療ガイドライン等の作成・改訂に直結するエビデンス研究分野」では適応外の臨床試験を計画している場合、介入の対象は薬理作用等の作用メカニズムが適応と同一であり、治験等で実施せずエビデンス創出として実施する事が目的やリスクベネフィットの観点で妥当性があるか
- ・「希少難治性疾患の克服に結びつく病態解明研究分野」では学際的な体制、異分野融合研究を推進しているか

4.3 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 の他事業の課題評価委員等としてのご協力をお願いすることあります。

第 5 章 提案書等の作成・提出方法

5.1 提案書類の作成

5.1.1 応募に必要な提案書類

第 15 章公募研究開発課題を参照してください。

5.1.2 提案書類様式の入手方法

AMED にて用意している提案書類の様式については 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://wwwAMED.go.jp/koubo/>

5.1.3 提案書類の様式及び作成上の注意

(1) 提案書類の作成

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。

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。

- (A) 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。
- (B) 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。
- (C) 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)
- (D) 提案書類は、下中央にページ番号を付与してください。
- (E) 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。

(2) 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。

詳細は第 11 章を参照してください。

(3) 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。

(4) 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。

(5) 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。

- (A) 単に既製の設備・備品の購入を目的とする提案
- (B) 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

5.2 研究開発提案書以外に必要な提出書類等について

第15章公募研究開発課題を参照してください。

5.3 提案書類の提出方法

提案書類の提出は、受付期間内に e-Rad にてお願いします。なお、応募期間締め切り直前はアクセス集中のため不具合が発生する場合もあるため、期限に余裕を持って提出してください。期間内に提出が完了していない場合は応募を受理しません。また、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 e-Rad の研究者向け操作マニュアルを参照してください。) 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。

(注1) e-Rad の利用可能時間帯は、平日、休日ともに 00:00~24:00 となります。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ので、注意してください。なお、e-Rad の運用を停止する場合は、e-Rad ポータルサイトにて事前にお知らせがあります。

(注2) 提案書類のファイルは、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。PDF 変換に当たって、これらの機能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。

(注3) アップロードできる 1 ファイル当たりの最大容量は 15 MB となります。

5.3.1 e-Rad での提出状況の確認

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。なお、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。また、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、本事業担当課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。

申請状況	申請の種類〔ステータス〕の表示
① 応募申請後	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。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。) なお、機関承認の手続きが難しい状況が生じた場合は本事業担当課にご相談ください。
② 研究機関の承認の手続きが完了後	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。
③ 配分機関「AMED」が受理	申請の種類〔ステータス〕が「 受理済 」となります。

5.3.2 e-Rad の使用に当たっての留意事項

(1) 研究機関の事前登録

研究者が研究機関を経由して応募する場合、「代表機関」、「分担機関」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、提出前に本事業担当課までなるべくお早めにお問合せください。

(2) 研究者情報の事前登録

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 システム運用担当で登録します。必要な手続きは e-Rad ポータルサイトを参照してください。

5.3.3 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（第 14 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、お問合せください。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。

5.4 研究費の不合理な重複及び過度の集中の排除

5.4.1 不合理な重複に対する措置

同一の研究者による同一の研究開発課題（競争的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（国立研究開発法人含む。以下同じ。）の複数の競争的資金等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。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 の本事業担当課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。

(A) 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等に対して同時に応募があり、重複して採択された場合

- (B) 既に採択され、配分済の競争的資金等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
- (C) 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
- (D) その他これに準ずる場合

5.4.2 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、その研究開発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。

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 の本事業担当課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。

- (A) 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
- (B) 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※100%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
- (C) 不必要に高額な研究設備の購入等を行う場合
- (D) 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。

5.4.3 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。

5.4.4 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。提案書類に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。

第6章 情報の取扱い

6.1 提案書類等に含まれる情報の取扱い

6.1.1 情報の利用目的

不採択課題を含む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、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、研究開発費の委託業務、第13章に記載されている研究支援のために利用されます。

なお、研究提案した研究者及び当該研究者の所属研究機関の権利利益を不当に侵害するがないように、当該情報の利用目的は上記業務に限定し、利用者は上記業務に關係する AMED 役職員に限定します。

また、不採択課題を含む提案書類等に含まれる情報については、AMED 法人文書管理規程に則り適切に管理し、独立行政法人等の保有する情報の公開に関する法律、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、研究提案した研究者及び当該研究者の所属研究機関の権利利益を不当に侵害するがないように、提案書類等に含まれる情報に関する秘密を厳守します。詳しくは総務省のウェブサイト^{*}を参照してください。

※「情報公開制度 > 情報公開制度の紹介」(総務省)

https://www.soumu.go.jp/main_sosiki/gyoukan/kanri/jyohokokai/shoukai.html

「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)

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

6.1.2 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 ウェブサイト、AMED 研究開発課題データベース（AMEDfind）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。
- (B) 申請された課題全てについて、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。
- (C) e-Rad に登録された情報は、国の資金による研究開発の適切な評価や、効果的・効率的な総合戦略、資源配分方針等の企画立案等に活用されます。これを受け、CSTI 及び関係府省では、公募型研究資金制度のインプットに対するアウトプット、アウトカム情報を紐付けるため、論文・特許等の成果情報や会計実績の e-Rad での登録を徹底することとしています。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。研究成果情報・会計実績情報を含め、マクロ分析に必要な情報が内閣府に提供されることとなります。
- (D) 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制度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。

※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。

第7章 採択後契約締結までの留意点

7.1 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。

- (A) AMED が指示する提出物の提出期限を守らない場合
- (B) 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
- (C) 不正行為等に関する本調査が開始された場合
- (D) 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
- (E) 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

7.2 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^{※1}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^{※2}
- (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

※1 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。

※2 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。

7.3 契約締結の準備について

研究開発課題の採択後、契約の締結が速やかに進められるよう、研究開発課題を実施する機関は、以下の（A）～（C）を準備しておく必要があります。なお、契約に必要な書類（計画書様式等）については、採択後に別途ご連絡します。

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。（研究開発計画書の一部について英語での提出を依頼することがありますので、あらかじめ留意してください。）

- (A) 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

7.4 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（DMP）を AMED に提出^{*}していただきます。必要な書類（様式）については、採択後に別途ご連絡します。

- ※ 公的資金により行われる研究開発から生じるデータ等は国民共通の知的資産でもあり、AMED は、現状では把握できていないデータの所在等を把握し、データの収集、質の確保、意味づけ、保存と活用等が適切かつ公正に行われるよう推進する役割があります。
- ※ AMED は、データマネジメントプランで研究開発データの種類、保存場所、データの管理責任者、データの利活用・データシェアリングの方針やデータ関連人材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のために役立てるとしています。
- ※ データマネジメントプランは、どの研究開発課題で、どんなデータが産出され、誰がどこで管理しているのかを記載するものです。
- ※ 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。
- ※ 「AMED 研究データ利活用に係るガイドライン」、データマネジメントプランの記載要領を遵守して記載してください。（「AMED 研究データ利活用に係るガイドライン」においては、データマネジメントプラン提出の義務化、機能、役割等についても説明していますので、ご参照ください。）
- ※ 記載事項のうち公開可能な内容や記載情報を統計的に処理した情報については、他の課題情報とともに公開することとしています。
- ※ AMED 研究データ利活用に係るガイドライン及びデータマネジメントプランの提出の義務化について
<https://www.amed.go.jp/koubo/datamanagement.html>

第8章 委託研究開発契約の締結等

8.1 委託研究開発契約の締結

8.1.1 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。

なお、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。さらに、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。

8.1.2 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>

8.1.3 年度末までの研究開発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、年度末までの研究開発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。

8.1.4 委託研究開発費の額の確定等について

当該年度の委託研究開発契約期間終了後、委託研究開発契約書に基づいて提出していただく委託研究開発実績報告書を受けて行う確定検査により、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。詳細は第12章を参照してください。

8.2 委託研究開発費の範囲及び支払い等

8.2.1 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
直接経費	物品費	研究用設備・備品・試作品、ソフトウェア（既製品）、書籍購入費、研究用試薬・材料・消耗品の購入費用
	旅費	研究開発参加者に係る旅費、外部専門家等の招聘対象者に係る旅費
	人件費・謝金	人件費：当該委託研究開発のために雇用する研究員等の人件費 謝金：講演依頼、指導・助言、被験者、通訳・翻訳、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、 ※3}	直接経費に対して一定比率（30%目安）で手当され、当該委託研究開発の実施に伴う研究機関の管理等に必要な経費として研究機関が使用する経費	

※1 <https://wwwAMED.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。なお、分担機関（国の施設等機関等に所属する研究者を除く。^{※3} 参照）についても、配分される直接経費に応じて間接経費が配分されます。

※3 国の施設等機関等（国立教育政策研究所を除く）に所属する研究者へ間接補助金を交付する方式の場合は、対象外となります。

8.2.2 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」^{※1} 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。

(注1) AMED における治験・臨床試験での委託研究開発契約では、「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」を用いることができます。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（「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。詳細は以下の AMED ウェブサイト^{※2}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」^{※3}を参考に費用を計上してください。

※ 1 <https://wwwAMED.go.jp/keiri/index.html>

※ 2 https://wwwAMED.go.jp/program/kenkyu_unyo.html

※ 3 https://sc.megabank.tohoku.ac.jp/wp-content/uploads/2019/04/uses_fee_20190401.pdf

8.2.3 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://wwwAMED.go.jp/keiri/index.html>

8.2.4 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。

8.2.5 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://wwwAMED.go.jp/keiri/index.html>

8.2.6 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」（令和元年7月18日改正競争的研究費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。

※ <https://wwwAMED.go.jp/keiri/index.html>

8.2.7 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://wwwAMED.go.jp/keiri/index.html>

8.3 取得物品の取扱い

8.3.1 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。

8.3.2 取得物品の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きを行いませんが、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。）

※「耐用年数期間」は、減価償却資産の耐用年数等に関する省令（昭和 40 年大蔵省令第 15 号）別表第六 開発研究用減価償却資産の耐用年数表に定める年数となります。（工具・器具及び備品は 4 年）

8.3.3 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。

第9章 採択課題の進捗管理

9.1 課題の進捗管理

全ての採択課題について、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。

また、毎年度、委託研究開発契約に基づき、委託研究開発実績報告書の別添として、委託研究開発成果報告書の提出を求めます。

なお、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、進捗状況により、計画の見直しや中止（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、事前に PMDA のレギュラトリーサイエンス戦略相談等の相談（対面助言）により合意した研究開発計画にて実施し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。

研究開発期間中、革新的な医薬品や医療機器等の創出を念頭に置いた治験や臨床試験及びそれらを目指した非臨床試験を行うこととなった研究では、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。

9.2 中間評価・事後評価等

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 が中止（早期終了）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できます。

* 5 年以上とは、ここでは年度をいう。

9.3 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。

第 10 章 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。

10.1 論文謝辞等における体系的番号の記載について

本事業により得られた研究開発成果等について外部発表等を行う場合は、AMED の支援の成果であること及び謝辞用課題番号を謝辞等に必ず記載してください。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://wwwAMED.go.jp/keiri/index.html>

10.2 研究開発成果報告書の提出と公表

研究機関は、委託研究開発実績報告書の別添として、研究成果を取りまとめた委託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。期限までに同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つこととなりますので、提出期限は厳守してください。また、同成果報告書の一部について英語での提出を依頼することができますので、あらかじめ留意してください。

また、同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、同成果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取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。

10.3 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。

10.4 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ともに、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 実用化推進部 実用化推進・知的財産支援課では、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（詳細は第 13 章を参照してください）。

※ https://wwwAMED.go.jp/chitekizaisan/chizai_policy.html

10.5 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://wwwAMED.go.jp/chitekizaisan/chizai_kyouzai.html

10.6 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。

10.7 データの取扱い

AMED が委託者となる委託研究開発契約によって創出、取得又は収集されたデータやそのデータを加工等することによって生み出されたデータ（研究開発データ）に関しては、令和 2 年度以降の委託研究開発契約書、「AMED 研究データ利活用に係るガイドライン」^{*}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。

※ <https://wwwAMED.go.jp/koubo/datamanagement.html>

第 11 章 本事業を実施する研究機関・研究者の責務等

11.1 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。

11.2 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。また、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。

11.3 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。そのため、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。また、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。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。

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。

11.3.1 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）
- ・研究公正に関するヒヤリ・ハット集（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－誠実な科学者の心得－」（日本学術振興会「科学の健全な発展のために」編集委員会）
- ・研究機関等が上記と内容的に同等と判断したプログラム

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（日本医師会治療促進センター）、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。

※ 臨床研究中核病院が実施する研修については、以下のウェブサイトの「臨床研究中核病院について」で確認してください。

<https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/chiken.html>

11.3.2 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）。

11.3.3 研究機関等の役割・履修情報の報告について

研究機関等は、自己の機関（再委託先を含む。）に属する履修対象者に、上記のプログラム・教材による研究倫理教育を履修させ、研究機関等が取りまとめの上、履修状況を AMED が指定する様

式により AMED（研究公正・業務推進部 研究公正・法務課）に電子ファイルで提出してください（押印は不要です。）。

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

・報告対象者	令和 3 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 4 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 ウェブサイトより様式をダウンロードしてください。)
・URL	https://wwwAMED.go.jp/kenkyu_kousei/kyoiku_program.html

11.4 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、その報告を行ってください。

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。

11.4.1 AMED の「研究活動における利益相反の管理に関する規則」に基づく利益相反管理

(1) 対象者について

研究開発代表者及び研究開発分担者。ただし、AMED ウェブサイトの「研究公正」ページの「研究開発に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。

(2) 利益相反審査の申出について

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

11.4.2 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。

11.4.3 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。なお、利益相反管理状況報告書については AMED ウェブサイト^{*}で公開します。

また、利益相反管理状況報告書の様式、提出方法や提出先等については、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 3 年 1 月頃に掲載します。

※ 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

11.5 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別添の委託研究成果報告書に関する記載事項の1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。

- ヒトに関するクローラ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）
- 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）
- 臨床研究法施行規則（平成 30 年厚生労働省令第 17 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 年厚生労働省令第 89 号）
- 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）
- 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）
- 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）
- 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）
- ヒト ES 細胞の樹立に関する指針（平成 31 年文部科学省・厚生労働省告示第 4 号）
- ヒト ES 細胞の分配機関に関する指針（平成 31 年文部科学省告示第 69 号）
- ヒト ES 細胞の使用に関する指針（平成 31 年文部科学省告示第 68 号）
- 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）
- 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、平成 29 年 2 月 28 日一部改正）

- 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、平成 29 年 2 月 28 日一部改正）
- 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、平成 29 年 2 月 28 日一部改正）
- 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、平成 31 年 2 月 28 日一部改正）
- 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）
- 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平衡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>

11.6 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。

第 12 章 不正行為・不正使用・不正受給への対応

12.1 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」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。

12.2 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。

12.2.1 契約の解除等

AMEDは、本事業において不正行為等が認められた場合は、研究機関に対し、委託研究開発契約を解除し、委託研究開発費の全部又は一部の返還を求めます。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。

12.2.2 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、関係府省に当該不正行為等の概要（不正行為等をした研究者名、制度名、所属機関、研究課題、予算額、研究年度、不正等の内容、講じられた措置の内容等）を提供します。これにより、関係府省等の競争的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

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

不正使用及び不正受給に係る応募制限の対象者	不正使用の程度	応募制限期間
1. 不正使用を行った研究者及びそれに共謀した研究者	(1) 個人の利益を得るために私的流用	10 年
	(2) (1) 以外 ① 社会への影響が大きく、行為の悪質性も高いと判断されるもの	5 年
	② ①及び③以外のもの	2～4 年
	③ 社会への影響が小さく、行為の悪質性も低いと判断されるもの	1 年
2. 偽りその他不正な手段により競争的資金等を受給した研究者及びそれに共謀した研究者		5 年
3. 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研究者		善管注意義務を有する研究者の義務違反の程度に応じ、上限 2 年、下限 1 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
- ・ 3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 3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。

12.2.3 他の競争的資金制度等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競争的資金制度等（令和3年度以降に新たに公募を開始する制度も含みます。なお、令和2年度以前に終了した制度においても対象となります。）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つた場合は、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つた場合は、当該契約を解除すること等があります。

12.2.4 他の競争的資金制度等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、他の競争的資金制度等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。

12.2.5 不正事案の公表

本事業において、12.2.1 及び 12.2.2 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、当該不正事案の概要（制度名、所属機関、研究年度、不正の内容、講じられた措置の内容）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。

12.3 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、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。

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従って実施するようお願いします。

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

第 13 章 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るものがあります。

13.1 国民や社会との対話・協働の推進

「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）においては、本公募に採択され、1 件当たり年間 3000 万円以上の公的研究費（競争的資金又はプロジェクト研究資金）の配分を受ける場合には、「国民との科学・技術対話」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。これらの観点から、研究活動の内容や成果を社会・国民に対して分かりやすく説明する取組や多様なステークホルダー間の対話・協働を推進するための取組が求められています。このことを踏まえ、研究成果に関する市民講座、シンポジウム及びインターネット上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）

https://www8.cao.go.jp/cstp/stsonota/taiwa/taiwa_honbun.pdf

13.2 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※（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。

※ 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>

13.3 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。

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

※ 2 <https://www.amed.go.jp/keiri/index.html>

13.4 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。

13.5 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、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としています。

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

13.6 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）にお問合せください。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

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

13.7 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^{*3}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

13.8 創薬支援ネットワーク及び創薬事業部による支援

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 創薬事業部（以下「創薬事業部」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、創薬事業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、創薬事業部は、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、事業担当課と調整の上、創薬事業部による支援を積極的に行なうことがあります。

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、創薬事業部に情報提供を行います（第6章を参照してください）。なお、創薬事業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、創薬事業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に情報提供を行います。

創薬支援ネットワーク及び創薬事業部による支援に関する照会先は、第14章を参照してください。

13.9 革新的医療技術創出拠点によるシーズ育成・研究開発支援

AMEDでは、革新的医療技術創出拠点（橋渡し研究支援拠点及び臨床研究中核病院）において、アカデミア等の基礎研究の成果を一貫して実用化につなぐ体制を構築しています。

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。また、将来の医薬品・医療機器等の研究開発を担う若手人材や医療アントレプレナーを育成するプログラムや、医療分野で実用化を目指す方向けのセミナーやシンポジウムなども開催しています。

革新的医療技術創出拠点が提供する各種サービス・コンサルテーション・共同設備は、当該拠点の学内や病院内だけでなく、外部の研究機関やベンチャーを含む企業の研究者にも広くご利用いただけます（支援業務やサービスの一部は各機関の規程に基づき有償）。ARO(Academic Research Organization)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、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考してください。

※ 拠点一覧

https://wwwAMED.go.jp/program/list/16/01/001_ichiran.html

13.10 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、AMEDfindでは、研究者名からresearchmapへのリンクを行っています。

※ <https://researchmap.jp/>

13.11 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、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ことを原則とします。また、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。

※1 NBRP : <https://wwwAMED.go.jp/program/list/14/01/004.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きです。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。

13.12 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.biosciencedbc.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.biosciencedbc.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、登録にご協力をお願いします。

(3) その他

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

第 14 章 お問合せ先

本公司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お問合せください^{*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 お問合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://wwwAMED.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 創薬事業部 創薬企画・評価課 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・業務推進部 研究公正・法務課 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・業務推進部 研究公正・法務課 E-mail: kenkyuukousei"AT"amed.go.jp
RIO ネットワーク	AMED 研究公正・業務推進部 研究公正・法務課 E-mail: rionetwork"AT"amed.go.jp
Medical IP Desk（医療分野の知財相談窓口）	AMED 実用化推進部 実用化推進・知的財産支援課 E-mail: medicalip"AT"amed.go.jp
創薬支援ネットワーク及び創薬事業部による支援	AMED 創薬事業部 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 室町し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、第 15 章 A. (5) (m) 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（代表）（平日 18 時 15 分まで）
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 →そのうえで、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

第 15 章 公募研究開発課題の概要

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第 1 章を、公募・選考の実施方法については第 3～5 章を、それぞれ参照してください。

A. 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

(1) 公募研究開発課題名

- A-1. 医薬品^{※1} のシーズ探索研究（医薬品ステップ 0）
- A-2. 医薬品^{※1} の治験準備（医薬品ステップ 1）
- A-3. 医薬品^{※1} の治験^{※2}（医薬品ステップ 2）

※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、「C. 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」に応募すること。

※2 ここでいう「医薬品の治験」の対象となる候補物質とは、新規化合物、ドラッグ・リポジショニングの両方を対象とする。なおその詳細は、(4) 研究開発費の規模等の表の注を参照のこと。

(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・研究機関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の QOL や予後の向上に寄与する優れた「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・研究機関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) 「A-1. 医薬品のシーズ探索研究（医薬品ステップ 0）」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) 「A-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) 「A-3. 医薬品の治験（医薬品ステップ 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 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、原則として研究開発期間終了時までに、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) 「A-1.医薬品のシーズ探索研究（医薬品ステップ 0）」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) 「A-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) 「A-3.医薬品の治験（医薬品ステップ 2）」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	公募研究開発課題名	研究開発費の規模	研究開発実施予定期間	新規採択課題予定期数
A-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	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 20,000 千円程度 (間接経費を含まず)	最長 3 年 令和 3 年度～ 令和 5 年度	0～12 課題 程度
A-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 60,000 千円程度 (間接経費を含まず)	最長 3 年 令和 3 年度～ 令和 5 年度	0～6 課題 程度
A-3		医薬品の治験 (医薬品ステップ 2)	1 課題あたり年間 80,000 千円程度 ※ ドラッグ・リポジショニングは 60,000 千円程度 (間接経費を含まず)	最長 3 年 令和 3 年度～ 令和 5 年度	0～7 課題 程度

(注) 「医薬品の治験準備（医薬品ステップ 1）」、「医薬品の治験（医薬品ステップ 2）」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過去に AMED から支援を受けてきたものは応募できない。

A-3 で「新規化合物」の一課題当たりの年間研究開発費の規模は、80,000 千円程度（間接経費を含まず）とする。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。また、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も本範疇とする。

A-3 で「ドラッグ・リポジショニング」の一課題当たりの年間研究開発費の規模は、60,000 千円程度（間接経費を含まず）とする。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す。さらに、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「国内未承認薬」も本範疇とする。

(5) 採択条件

【共通部分】

(a) 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（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。

【公募研究開発課題毎の条件】

「A-1. 医薬品のシーズ探索研究（医薬品ステップ0）」の条件

(b) 「(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。

(c) 創薬化学、毒物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。

※ここでいう創薬化学専門家とは開発候補化合物の特定における化合物設計、合成、物性評価の経験を有する者。毒物学の専門家とは開発候補化合物選定における毒性評価及び薬物動態スクリーニングについての経験を有する者をいう。

「A-2. 医薬品の治験準備（医薬品ステップ1）」の条件

(d) 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、既に行つた非臨床試験及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）を記載すること。

(e) 治験で使用する原薬及び製剤の治験 GMP 製造を実施する準備状況、今後の計画を記載すること。

「A-3. 医薬品の治験（医薬品ステップ2）」の条件

(f) 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）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) 導出予定企業名及び導出予定期間が記載されており、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) 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) 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) AMED との契約締結後、半年以内に治験届を提出できること。
- (k) 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）。
- (l) 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（当該医薬品の対象となる疾患に関わる臨床専門家、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、医薬品の創製から製剤化までを網羅的に評価できる創薬化学研究者、薬物動態研究者、物性研究者等が体制の中に含まれていること、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。
- (m) 厚生科学研究における難病の実態把握、診断基準・診療ガイドライン等に資する調査研究から、AMED における実用化を目指した基礎的な研究、診断法、医薬品等の研究開発まで、切れ目なく実臨床につながる研究開発が行われるよう、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班（以下、政策班）が存在する場合は原則、連携すること（連携先及び連携内容を明らかにすること。申請時に連携していない場合はその理由を明示する必要があり、その場合であっても採択後に AMED が指定する政策班と連携すること）。
- 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2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 <https://www.nanbyou.or.jp/entry/15824>
- 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（連絡先は第14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 創薬事業部創薬企画・評価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。

（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) 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。
- (e) ステップ0及びステップ1においても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。
- ※「第15章 A. (5) (m) 特記事項」を参照ください。
- (f) 戰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。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、及びCMO/CDMOとの製造委託等の契約締結にむけた交渉を担える担当者が体制の中に含まれていること。

【公募研究開発課題毎の留意事項】

「A-2. 医薬品の治験準備（医薬品ステップ1）」の留意事項

- (g) 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）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) 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。

※応募時点で対面助言を実施済みであることは必須ではないが、実施時期については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のうえ、計画的に適切な時期に実施すること。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すること。

「A-3. 医薬品の治験（医薬品ステップ2）」の留意事項

- (i) 研究期間内にコンパッショネッ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) 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。当該疾患で同時期に行われる他の治験の影響についても考慮した計画とする。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時点で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。

- (k) 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。
- (l) 治験の結果は、総括報告書完成後、知財・導出交渉に影響を与えない時期に学術論文等で公開すること。
- (m) 感染症の蔓延、天災、災害に関連した組織 BCP (Business Continuity Management) 応じて、治験推進のリスク評価、影響が最小限になるような対策の立案が望ましい。研究継続に影響する事案の発生時は AMED へ速やかに相談を行うこと。
- (n) 新型コロナウイルス感染の拡大等治験推進のリスク評価や影響が最小限となる対策の実施が望ましい。

(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	資料の位置づけ*			提出物	本章以外の 主な参考箇所	備考	
	A-1	A-2	A-3				
1	必須		研究開発提案書		4章、5章	指定様式	
2	必須		研究開発提案書要約（英語及び日本語）		4章、5章	指定様式	
3	-	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 戰略相談の事前面談を実施済みの場合はサマリ－（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）		2.2.6		
5	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）		-	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	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		-		

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	-	
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。（「A-1」～「A-3」は対応する公募研究開発課題を示す）

資料については、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すること。

任意：提出は必須ではないものの、提出された場合は審査に利用される提出物

B. 希少難治性疾患に対する画期的な医療機器の実用化に関する研究分野

(1) 公募研究開発課題名

医療機器※の治験準備（医療機器ステップ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」における医療機器を指し、医薬品（体外診断薬を含む）については「A. 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」再生医療等製品については、「C. 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」に応募すること。

(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療機器による治療が期待されており、医療機器の国内での薬事承認に加え、既存の医療機器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のQOLや予後の向上に寄与する優れた「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（原則として探索的試験まで）。具体的には以下を目標とする。

「医療機器の治験準備（医療機器ステップ1）」として、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、治験用製品の確保（QMS省令に適合した治験用製品の製造）、治験プロトコル作成の準備、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、治験または臨床試験へ進める状況となっていること。

(3) 求められる成果

各研究開発課題の進捗状況に応じて、原則として研究開発期間終了時までに、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。

非臨床試験総括報告書（安全性試験についてはGLP）、治験製品、QMS省令に適合した製品の確保・提供を証明・保証する書類及び製造工程記録一式、治験実施計画書、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	公募研究開発課題名	研究開発費の規模	研究開発実施予定期間	新規採択課題予定数
B	希少難治性疾患に対する画期的な医療機器の実用化に関する研究分野	医療機器の治験準備（医療機器ステップ1）	1課題あたり年間35,000千円程度（間接経費を含まず）	最長3年 令和3年度～令和5年度	0～2課題程度

(5) 採択条件

(a) 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。

*製品名、薬事申請上の分類（管理医療機器、高度医療機器及びクラス）、機能、性能、品質、耐久性、信頼性、安全性（医用工学面、薬学面、医学面）、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）、使用法・使用形態（患者の使用容易性）、臨床開発における課題などを意味する。

- (b) 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及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）を記載すること。
- (c) 開発製品の QMS 省令に適合して製造するための準備状況、今後の計画を記載すること。
- (d) 開発製品を使用する対象疾患患者や使用方法を明確にし、リスクマネジメントがなされた製品仕様が確定していること及び製品が試作品レベルで機能することが確認されていること。
- (e) QMS 省令に基づく製造管理、品質管理体制が構築されていること。

(6) 留意事項

- (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) 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。
- (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。

* 「第15章 A. (5) (m) 特記事項」を参照。

(f) 戰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。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、及び CMO/CDMO との製造委託等の契約締結にむけた交渉を担える担当者が体制の中に含まれていること。

(g) 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）、規格（JIS、ISO・IEC 規格等）、実施時期等について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）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。

(h) 既に PMDA RS 戰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 戰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。

※ 応募時点で対面助言を実施済みであることは必須ではないが、実施時期については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のうえ、計画的に適切な時期に実施すること。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	資料の位置づけ [*]	提出物	本章以外の 主な参考箇所	備考
1	必須	研究開発提案書	4章、5章	指定様式
2	必須	研究開発提案書要約（英語及び日本語）	4章、5章	指定様式
3	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	必須	PMDA RS 戰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）	2.2.6	
5	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）	—	様式自由 英語可
6	必須	QMS 省令に基づく製造管理、品質管理体制を示す資料	—	
7	任意	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	必須	開発候補製品に係る特許（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	製品開発仕様書	-	
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	-	
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	開発製品の確保状況（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。資料については、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。

任意：提出は必須ではないものの、提出された場合は審査に利用される提出物

C. 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) 公募研究開発課題名

- C-1.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）
- C-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）
- C-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、特に細胞医療・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、アカデミア等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) 「C-1.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）」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) 「C-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) 「C-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（治験計画書の提出、第I相試験の実施、第II相試験の実施、臨床POCの取得、GCTP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) 「C-1.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）」においては、研究開発に係る新規特許出願に関する資料（該当する場合）、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) 「C-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）、治験薬としての製剤の確保・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) 「C-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、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	公募研究開発課題名	研究開発費の規模	研究開発実施予定期間	新規採択課題予定期数
C-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	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 20,000千円程度 (間接経費を含まず)	最長3年 令和3年度～ 令和5年度	0～4課題 程度
C-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 60,000千円程度 (間接経費を含まず)	最長3年 令和3年度～ 令和5年度	0～2課題 程度
C-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 80,000千円程度 (間接経費を含まず)	最長3年 令和3年度～ 令和5年度	0～2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つた経験があること、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) 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（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。

※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

【公募研究開発課題毎の条件】

「C-1.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）」の条件

(c) 「(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。

「C-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）」の条件

(d) 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、既に行つた非臨床試験及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）を記載すること。

「C-3.再生・細胞医療・遺伝子治療の治験（再生等ステップ2）」の条件

- (e) 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とともに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）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。
- (f) 導出予定企業名及び導出予定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。
- (g) 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。
- (h) 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。
- (i) 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。
- (j) 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）。
- (k) 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。
- (l) 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。
- (m) 厚生科学研究における難病の実態把握、診断基準・診療ガイドライン等に資する調査研究から、AMEDにおける実用化を目指した基礎的な研究、診断法、医薬品等の研究開発まで、切れ目なく実臨床につながる研究開発が行われるよう、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班（以下、政策班）※が存在する場合は原則、連携すること（連携先及び連携内容を明らかにすること。申請時に連携していない場合はその理由を明示する必要があり、その場合であっても採択後にAMEDが指定する政策班と連携すること）。
- ※「第15章 A. (5) (m) 特記事項」を参照。

(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) 遵守すべき研究に關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 戰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^{※1}**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 戰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。

※1 応募時点で**対面助言を実施済みであることは必須ではないが、実施時期については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のうえ、計画的に適切な時期に実施すること。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) ステップ 0 及びステップ 1 においても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。

※2 「XI 章 A. (6) (b) 1) 特記事項」を参照。

(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。

(h) 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。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、及び CMO/CDMO との製造委託等の契約締結にむけた交渉を担える担当者が体制の中に
含まれていることを確認する。

【公募研究開発課題毎の留意事項】

「C-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）」の留意事項

(i) 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）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）

「C-3. 再生・細胞医療・遺伝子治療の治験（再生等ステップ 2）」の留意事項

(j) 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。

(k) 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時点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。

(l) 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	資料の位置づけ*			提出物	本章以外の 主な参考箇所	備考
	C-1	C-2	C-3			
1	必須			研究開発提案書	4章、5章	指定様式
2	必須			研究開発提案書要約（英語及び日本語）	4章、5章	指定様式
3	-	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）	2.2.6	
5	任意	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）	-	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	任意		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）	-	現在の進捗段階に応じて、相当する書類を添付すること。
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	-	
10	任意			提案する研究開発課題に関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	-	

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。（「C-1」～「C-3」は対応する公募研究開発課題を示す）

資料については、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。

任意：提出は必須ではないものの、提出された場合は審査に利用される提出物

D. 診療に直結するエビデンス創出研究分野

(1) 公募研究開発課題名

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）

(2) 背景及び目標

診療ガイドライン等は臨床現場における意志決定を支援するために最適と考えられることを推奨する上で重要なものであり、常に最新・相応のエビデンスをもって作成・改訂にあたる必要がある。

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・改訂に直結するエビデンスを創出することで医療の質の改善に寄与することを目標とする。

(3) 求められる成果

診療ガイドライン等の作成・改訂に直結するエビデンスを創出したことを示す資料（研究成果をもとに作成・改訂された診療ガイドライン等、原著論文）。

(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	研究開発実施予定期間	新規採択課題予定数
D	診療に直結するエビデンス創出研究分野	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 10,000 千円程度 (間接経費を含まず) ※適応外の臨床研究を含む場合は 15,000 千円程度 (間接経費を含まず)	最長 3 年 令和 3 年度～ 令和 5 年度	0～29 課題程度

(5) 採択条件

- (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) 研究開発提案書に「本研究開発提案において解決するクリニカルエクスチョン、設定の経緯及びその重要性（臨床的意義）」が明記されていること。
- (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) 実施する試験・研究の全てのプロトコール（概要不可）が応募時に提出されていること。
- (e) 研究開発内容に以下に該当する研究・試験を含まないこと：
 - ① 本公募研究開発課題の「目標」にそぐわない研究（診療ガイドライン等の作成・改訂に直結するエビデンス創出に該当しない基礎研究の実施等^{※1}）。

※1 特段の理由がない限り原則として、病態解明研究は「G. 希少難治性疾患の克服に結びつく病態解明研究分野」で実施すること。

- ② 承認申請を目的とした臨床試験^{※2}（治験、公知申請、先進医療 B 等）

※2 クリニカルエクスチョン解決のための既承認医薬品・医療機器等を用いた有効性、安全性等に係る臨床試験等を実施することは可能とするが原則は適応内での使用とする。適応外の臨床試験を実施する場合は薬理作

用やメカニズム等が同様と推定される相応のエビデンスがあるものに限定し、臨床研究法その他関連する法令を遵守して実施すること。

- (③) 「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」(令和元年六月十四日公布(令和元年法律第三十七号)改正)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。

- (f) 「研究への患者・市民参画」^{※3} (PPI) が適切に組み込まれた研究であること。組み込む必要はないと判断した場合は、その理由が研究開発提案書内で説明されていること。

※3 <https://wwwAMED.go.jp/content/000055212.pdf>

- (g) 作成・改訂を予定する診療ガイドライン等に関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^{※4}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。

※4 日本医学会「診療ガイドライン策定参加資格基準ガイドンス」(平成29年3月 日本医学会 利益相反委員会)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。

- (h) 厚生科学研究における難病の実態把握、診断基準・診療ガイドライン等に資する調査研究から、AMEDにおける実用化を目指した基礎的な研究、診断法、医薬品等の研究開発まで、切れ目なく実臨床につながる研究開発が行われるよう、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班(以下、政策班)^{※5}が存在する場合は原則、連携すること(連携先及び連携内容を明らかにすること。申請時に連携していない場合はその理由を明示する必要があり、その場合であっても採択後にAMEDが指定する政策班と連携すること)。政策班が存在しない場合は、診療ガイドラインの作成・改定を担う学会の委員会等と連携すること(連携先及び連携内容を明らかにすること)。

※5 「第15章 A. (5)(m) 特記事項」を参照。

(6) 留意事項

- (a) エビデンス創出のためにAIを含む情報通信技術を活用する場合は、研究遂行に必要となる最適な専門家と連携すること。
- (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あるいは患者団体等がある場合には、その連携の具体的な内容を明示すること。
- (c) 研究協力体制に含む生物統計家は、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)があることが望ましい。
- (d) 研究協力体制に含む疫学専門家は、学会の専門家(認定)制度による認定資格を有する専門家であることが望ましい。
- (e) 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。
- (f) 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。
- (g) 連携予定の政策班等の研究内容と重複しないよう、留意すること。

- (h) 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・改訂が実施された場合は、委託研究開発期間内・終了後の如何を問わず、完成した診療ガイドライン等を AMED に提出すること。
- (i) 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。

(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	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	4章、5章	指定様式
2	必須	研究開発提案書要約（英語及び日本語）	4章、5章	指定様式
3	必須 (適応外臨床研究を実施する場合)	研究開発提案書別紙（エビデンス創出）	-	指定様式
4	必須	提案する研究開発課題実施する予定の全ての試験・研究のプロトコール（概要不可。倫理委員会への提出書類等プロトコール以外の書類を付けないこと。）	-	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、寄与した診療ガイドライン等のうち、過去5年以内のもの 診療ガイドライン等については、該当部分のみの提出可。	-	全て連結して提出のこと

※ 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表の資料番号を明示し、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。

任意：提出は必須ではないものの、提出された場合は審査に利用される提出物

E. 希少難治性疾患の研究及び実用化に資する情報基盤活用研究分野

(1) 公募研究開発課題名

希少難治性疾患の研究及び実用化に資する情報基盤活用研究（情報基盤活用研究）

(2) 背景及び目標

難治性疾患実用化研究事業では、当事業の実用化研究班及び厚生労働省の難治性疾患政策研究事業の政策研究班にて収集した臨床情報や生体試料から得られた情報を集約し、データのシェアリングや二次利用を通じてわが国の難病研究を推進させることを目標とした情報統合基盤を構築する研究※（以下「先行研究」という。）を推進してきた。

そのような中、重篤な疾患であって有効な治療法に乏しく患者数が少ない疾患等を対象に、医療上特にその必要性が高い医薬品及び医療機器等に係る「条件付早期承認制度（以下、本制度）」が法制化された。本制度適応の該当性や承認申請に必要な申請データ・パッケージ等の審議の上、本制度対象品目に指定されれば、承認申請時に検証的臨床試験成績の提出は必須ではなく審査期間も短縮される等、希少難治性疾患において有用な医薬品及び医療機器等をいち早く患者に提供できる場合がある。

また、独立行政法人医薬品医療機器総合機構にて「医薬品／再生医療等製品レジストリ活用相談」が新設され、承認申請の利活用についても相談ができる環境整備がなされた。

希少難病領域では検証的臨床試験の実施が困難な場合があり、そのようなケースではこれらの制度の活用が有用な場合がある。また、本制度では製造販売後に有効性・安全性の再確認等（以下、「規制対応」）のために必要な調査を実施すること等を承認条件として付与することとされているが、疾患レジストリのデータを活用することで効率的に承認条件に対応できる可能がある。このように開発の実施可能性が高まり企業負担が減ることで、希少難病領域での承認申請事例が増加することが期待できる。

本公募研究開発課題では、これまでの基盤構築に関する取り組みを更に発展させ、研究者や企業が難病プラットフォーム等の患者レジストリを利活用することにより成果を創出することを目標とする。

加えて、先行研究において蓄積してきた観察研究等の「規制対応」が不要な研究に係るレジストリについても、信頼性を担保したうえで研究利用できる共通基盤を構築する。

※「希少難治性疾患克服のための「生きた難病レジストリ」の設計と構築」（平成30年度～令和2年度）

(3) 求められる成果

以下の成果を求める。

- (a) 薬事承認申請等、企業に利活用された事例が2件以上
- (b) データのシェアリングや二次利用による論文が3報以上
- (c) データを活用した診療ガイドラインの作成又は改訂が8件以上

(4) 研究開発の規模等

#	分野等	公募研究開発課題名	研究開発費の規模	研究開発実施予定期間	新規採択課題予定期数
E	希少難治性疾患の研究及び実用化に資する情報基盤活用研究分野	希少難治性疾患の研究及び実用化に資する情報基盤活用研究	1課題あたり年間64,000千円程度 (間接経費を含まず)	最長3年 令和3年度～令和5年度	0～1課題程度

	(情報基盤活用研究)		
--	------------	--	--

(5) 採択条件

- (a) 以下の2つのレベルに対応可能な基盤を保有する又はAMEDとの契約後1年以内に構築できる研究であること。
- (ア) ER/ESレベルの信頼性を担保できる。※1
 ※1 「製造販売承認申請」又は「製造販売後における安全性及び／又は有効性の評価」に利用可能
 (イ) 真正性（セキュリティ、修正履歴）と保存性（バックアップ）を担保できる。※2
 ※2 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や予備的な調査等に利用可能
- (b) 患者レジストリを運営した実績があること。
- (c) 先行研究で構築したシステム以外を利用する場合、先行研究が保有するデータを移行する又はAMEDとの契約後1年以内にデータを移行できる研究であること。
- (d) データの二次利用や患者レジストリに関する各種手順を保有する又はAMEDとの契約後1年以内に作成する研究であること。
- (e) 企業連携（患者レジストリデータの二次利活用）の推進及びデータを二次利活用する企業等が負担する利用料等を想定した自立化に向けた方策が研究開発提案書別紙（情報基盤活用研究 企業連携及び自立化に向けた方策）として提出されていること。

(6) 留意事項

- (a) 厚生労働省の「全ゲノム解析等実行計画※」の進捗に応じ、厚生労働省及びAMEDから研究計画に大幅な見直しが求められる場合に対応すること（令和5年度研究計画時に対応が発生することを想定）。
 ※https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage_08564.html
- (b) 研究開発提案書を作成する際は、下記資料により公募趣旨やこれまでの経緯等を確認すること。
- (ア) ゲノム医療実現のためのデータシェアリングポリシー
<https://www.amed.go.jp/content/000060867.pdf>
 (イ) 難病研究の情報基盤について（難病プラットフォーム）
<https://www.amed.go.jp/content/000023354.pdf>

(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（一部英語）

資料番号	資料の位置づけ※	提出物	本章以外の主な参考箇所	備考
1	必須	研究開発提案書	4章、5章	指定様式
2	必須	研究開発提案書要約	4章、5章	指定様式（英語及び日本語）
3	必須	研究開発提案書別紙（情報基盤活用研究 企業連携及び自立化に向けた方策）		指定様式
4	必須	保有又は構築する基盤を説明する資料		様式自由

5	必須	保有又は作成予定の業務手順書の一覧		様式自由
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		

※ 資料の位置づけは以下を参照すること。

資料は、適宜結合した上で該当資料の右上に資料番号を明示し、PDF 形式で提出すること。

必須：提出がなければ不受理となる提出物。

任意：提出は必須ではないものの、提出された場合は審査に利用される提出物

F. 希少未診断疾患に対する診断プログラムの開発に関する研究

(1) 公募研究開発課題名

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

(2) 背景

臨床的な所見を有しながら通常の医療の中で診断に至ることが困難な患者（未診断疾患患者）は、多数の医療機関でも診断がつかず、原因もわからず、治療方法も見つからないまま、様々な症状に悩まされている。AMED が、関連する厚生労働省の難治性疾患政策研究事業の政策研究班（以下、「政策研究班」）と連携しこれまで進めてきた未診断疾患イニシアチブ Initiative on Rare and Undiagnosed Diseases (IRUD) は、このような患者の臨床情報及び必要に応じて遺伝学的解析結果等を踏まえた診断プログラムを開発するとともに、国際連携可能なデータベース構築等による積極的なデータシェアリングを行う体制を構築してきた。

これにより、先行研究においてこれまで 29 件の新規疾患を発見できただけでなく、遺伝性疾患が疑われるが診断が困難な患者に網羅的なゲノム解析を行った場合、一定の患者に診断がつく可能性があることが示唆された。

本公募研究開発課題は、これまでの研究成果を踏まえ、引き続き、網羅的ゲノム解析に基づき難病の病態解明を進めつつ、厚生労働省が進める「全ゲノム解析等実行計画※（以下、「実行計画」）に基づき難病の早期診断につながる遺伝子パネル等の導入に向けた方法等を開発し、難病患者のより良い医療の推進に向けて実施する研究事業である。

※https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage_08564.html

(3) 目標

- ・ 国及び地方自治体が構築する難病医療提供体制等及び全ゲノム解析等実行計画で実施される解析体制及び難治性疾患実用化研究事業が支援する全ゲノム解析等を実施する課題と連携し、多臓器に渡る又は遺伝子異常が疑われる未診断症例が、すみやかに適切な医療機関にアクセス可能となる体制を、日本全国で構築及び維持すること。
- ・ IRUD で得られた遺伝学的知見を遺伝学的診断技術等の向上と医療実装につなげるため、今後、難病について遺伝子パネル検査等の体系的な実現を目指し、関連する厚生労働省の政策研究班又は AMED の実用化研究班等と開発に必要なデータ・情報提供等で連携すること。
- ・ 関連する政策研究班及び AMED 実用化研究班等と連携し、同定された新規疾患原因遺伝子の機能や発症メカニズム解析を進めることにより治療や診断法の開発につなげること。
- ・ データシェアリングによる希少難治性疾患領域の研究の推進及び同領域の診断・治療法開発に資するデータ利活用を推進し、また難治性疾患実用化研究事業で推進してきた国内外への情報発信を行う課題（難病 ELSI※）と連携して情報発信を継続すること。

※ 難病 ELSI (https://www.amed.go.jp/koubo/11/02/1102C_00001.html)

(4) 求められる成果

- ・ 多臓器に渡る又は遺伝子異常が疑われる未診断症例に対し、遺伝子解析等を行い適切に結果を還元

又は利活用する体制を構築・維持したことを示す資料（実際に解析等の依頼を受けまた解析を実施しまた解析結果を還元した件数を示す資料等）。

- ・ IRUD で得られた遺伝学的知見を利活用して遺伝子パネル検査等の医療実装を目指し、厚生労働省の政策研究班又は AMED の実用化研究班と連携し、必要なデータ・情報等を提供したことを示す資料。
- ・ 関連する政策研究班及び AMED 実用化研究班等と連携し同定された新規疾患原因遺伝子の機能や発症メカニズム解析を実施したことを示す資料（論文等）又は治療や診断法の開発につなげたことを示す資料（連携する実用化研究の採択課題名等）。
- ・ データシェアリングによる希少難治性疾患領域の研究の推進及び同領域の治療法や診断法開発に資するデータ利活用を推進したことを示す資料（データマネジメントプラン及びトラックレコード）、また難治性疾患実用化研究事業で推進してきた国内外への情報発信を行う課題（難病 ELSI）と連携した情報発信を継続したことを示す資料（発信に用いたウェブサイト頁や論文等）。

（5）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	研究開発実施予定期間	新規採択課題予定数
F	希少未診断疾患に対する診断プログラムの開発に関する研究	未診断疾患イニシアチブ (IRUD)	1 課題あたり年間 420,000 千円程度 (間接経費を含まず)	最長 3 年 令和 3 年度～ 令和 5 年度	0～1 課題 程度

（6）採択条件

- (a) IRUD 診断連携が継続される又は同等の体制が構築される計画であること（IRUD 診断連携については IRUD 企画書※参照）。

※<https://wwwAMED.go.jp/program/IRUD/>

- (b) 遺伝学的解析そのものは、厚生労働省の「全ゲノム解析等実行計画」

(https://www.mhlw.go.jp/stf/newpage_08564.html) に基づき解析を実施する「難病ゲノムデータ基盤構築にむけた先行的な全ゲノム等解析研究」（令和 2 年二次公募採択課題、https://wwwAMED.go.jp/koubo/11/02/1102C_00001.html）及び「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」（令和 2 年度 1 次公募採択課題、https://wwwAMED.go.jp/koubo/01/05/0105C_00029.html）のうち全ゲノム解析等を行う研究班と連携して実施する計画であること。また実行計画に基づき今後計画される本格解析で実施される遺伝学的解析として実施可能な解析は本格解析で実施すべく本格解析計画の検討及び実施体制と十分に連携し厚生労働省及び AMED と協議の上で必要に応じて計画を見直すこと。

- (c) IRUD で得られた遺伝学的知見を遺伝学的診断技術等の向上と医療実装につなげるため、遺伝子パネル検査等の医療実装に関連する厚生労働省の政策研究班又は AMED の実用化研究班連携し、厚生労働省及び AMED の要請に応じて計画に協力し開発に必要なデータ提供等で連携することとし、同意取得を含む必要な措置を検討し行うこと。

- (d) 公費を用いた研究として、本課題で得られたデータについてデータシェアリングを義務とし AMED が支援する又は AMED が指定する公的データベースへの登録に合意すること。

(7) 留意事項

- (a) ゲノム解析等実行計画の進捗に応じ、厚生労働省及び AMED から研究計画に大幅な見直しが求められる場合に対応すること（令和5年度研究計画時に対応が発生することを想定）。
- (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 遵守すべき研究に關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 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。【任意】
 - ③ 提案者が考える IRUD の企画書※【任意】

※<https://wwwAMED.go.jp/program/IRUD/>

(表) 本公募研究開発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	4章、5章	指定様式
2	必須	研究開発提案書要約（英語及び日本語）	4章、5章	指定様式
3	任意	提案する研究開発課題に関連する学術雑誌等に発表した論文・著書、寄与した臨床指針・ガイドラインのうち、主なもの・最新のものの本文	-	
4	任意	提案者が考える IRUD の企画書		

※ 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

任意：提出は必須ではないものの、提出された場合は審査に利用される提出物

G. 希少難治性疾患の克服に結びつく病態解明研究分野

(1) 公募研究開発課題名

G-1.希少難治性疾患の病態解明研究（病態解明）

G-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「G-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、「G-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）

「G-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、「G-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	公募研究開発課題名	研究開発費の規模	研究開発実施予定期間	新規採択課題予定期数
G-1	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 3 年度～ 令和 5 年度	0～6 課題 程度
G-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）	1 課題あたり年間 5,000 千円程度 (間接経費を含まず)	最長 3 年 令和 3 年度～ 令和 5 年度	0～6 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。

【公募研究開発課題毎の条件】

- (c) 「G-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オートを確保できること。
- (d) 「G-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、研究開発代表者が第3章3.1（注4）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。）

※ 「第15章 A. (5)(m) 特記事項」を参照。

（7）提出が必要な書類について

本公募研究開発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	本章以外の主な参考箇所	備考
	G-1	G-2			
1	必須		研究開発提案書	4章、5章	指定様式
2	必須		研究開発提案書要約（英語及び日本語）	4章、5章	指定様式
3	-	必須	G-2 の公募に応募する場合、第3章3.1（注4）の若手研究者の定義に一致していることを示す資料（令和3年4月1日時点）	-	

		の年齢がわかる書類、博士号取得の日付がわかる書類、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)		
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	-	様式自由 英語可 (提出しない場合、研究開発提案書に実験計画の概要について記載され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。資料については、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。

任意：提出は必須ではないものの、提出された場合は審査に利用される提出物



国立研究開発法人 日本医療研究開発機構

創薬事業部	創薬企画・評価課
医療機器・ヘルスケア事業部	医療機器研究開発課
再生・細胞医療・遺伝子治療事業部	遺伝子治療研究開発課
ゲノム・データ基盤事業部	医療技術研究開発課
疾患基礎研究事業部	疾患基礎研究課

〒100-0004 東京都千代田区大手町1-7-1 読売新聞ビル 22F

令和2年11月