



令和4年11月10日

医薬品等規制調和・評価研究事業 令和5年度 1次公募説明会

日本医療研究開発機構（AMED）
創薬事業部
規制科学推進課

- はじめに
- 医薬品等規制調和・評価研究事業 概要説明
- 令和5年度1次公募 概要説明
- 公募課題説明
- 質疑応答

- 本公募説明会は、本事業の令和5年度1次公募の趣旨を概説するものであり、説明のために抜粋・要約等を行っております。
- 公募の詳細につきましては、「医薬品等規制調和・評価研究事業 令和5年度1次公募」の**公募要領を必ずご確認ください**。

https://www.amed.go.jp/koubo/11/03/1103B_00018.html

- はじめに
- **医薬品等規制調和・評価研究事業 概要説明**
- 令和5年度1次公募 概要説明
- 公募課題説明
- 質疑応答

1. 革新的医薬品の登場（再生医療等製品, 核酸医薬, バイオ医薬, 遺伝子治療薬等）

革新的医薬品等の品質・安全性を確保するためには、従来の低分子医薬品とは異なる**特有の評価法・判断基準**が必要となる。

2. 分析ツールの進歩（質量分析器, 次世代シーケンサー, ヒトiPS由来細胞, 大規模医療データベース, 人工知能等）

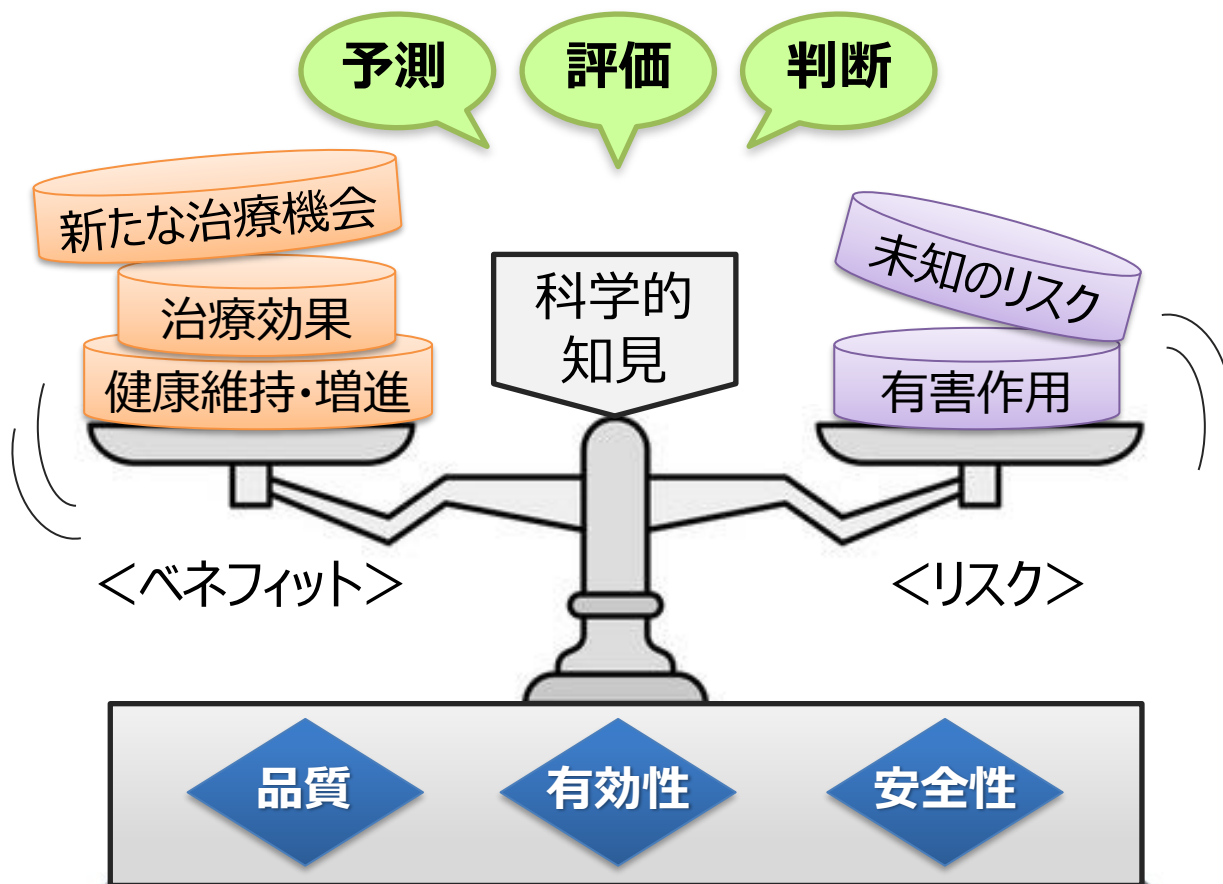
新しい分析ツールが開発されると、品質・安全性評価の質の向上が期待されるが、実際にどの程度、品質・安全性の評価に使えるかはわからないため、品質・安全性評価に用いた際の**能力と限界**を明らかにする必要がある。各医薬品に適した評価法を開発すると共に、評価法を**標準化**する必要がある。

3. より効率的な開発の必要性

品質・安全性を確保するために、**何を、どのような手段で、どこまで**明らかにすればよいか、できるだけ早く判断したい。

開発の指標となる基準をガイダンス案等として策定し、公表することで出口戦略を明確化する。

レギュラトリーサイエンスの概念図



医薬品等規制調和・評価研究事業では、医薬品・医療機器・再生医療等製品の品質・有効性・安全性を科学的知見に基づき適正かつ迅速に予測・評価・判断するレギュラトリーサイエンス (RS) 研究の推進に特化した公募研究を行っています。

- 品質、有効性、安全性の向上
- リスク&ベネフィットの適正な評価
- 実用化の成功率の向上
 - 研究開発の効率化、期間短縮、コスト削減

国際的な調和

- 医薬品等規制調和・評価研究事業（通称RS事業）では、**レギュラトリーサイエンスを充実・強化**するため、国際規制調和の最新の動向を考慮しつつ、医薬品等の**品質、有効性及び安全性**に関する評価法等に関する研究を実施し、科学的合理性と社会的正当性に関する根拠に基づいた**審査指針や基準の策定等**につなげます。
- また、最先端の技術を活用した医薬品等に係る評価法についての研究を実施し、**世界に先駆けた国際規格・基準の策定の提案等**につなげます。
- RS研究の推進により期待される成果は下記の通りです。
 - ✓ 新たな技術に対応した承認審査の推進
 - ✓ 市販後安全対策の基盤整備
 - ✓ 品質、有効性及び安全性に係る評価ガイドラインの策定 等
- **個別の医療用製品の開発**や個人的な科学的興味の充足は、**本研究事業の対象外**です。

○プログラムスーパーバイザー（PS）

医薬品医療機器レギュラトリーサイエンス財団 会長

奥田 晴宏

○プログラムオフィサー（PO）

国立医薬品食品衛生研究所 客員研究員

片倉 健男

順天堂大学大学院医学研究科 教授

佐瀬 一洋

大阪はびきの医療センター 次世代創薬創生センター
センター長

松山 晃文

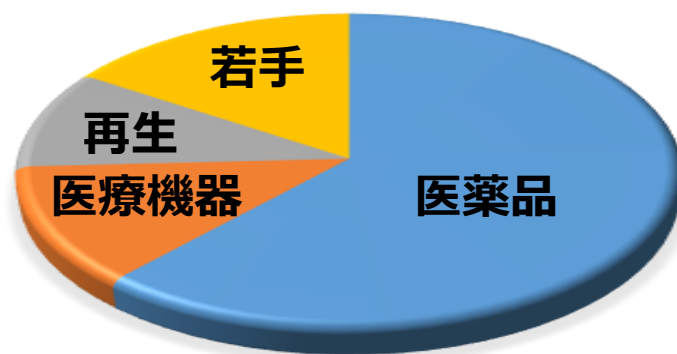
帝京大学 臨床研究センター 教授

矢守 隆夫

○科学技術調査員

昭和大学医学・医療振興財団 理事

安原 一



令和4年度

全82課題、10.9億円

- はじめに
- 医薬品等規制調和・評価研究事業 概要説明
- **令和5年度1次公募 概要説明**
- 公募課題説明
- 質疑応答

- 提案書類受付期間

令和4年11月1日（火）～11月30日（水）【12:00】（厳守）

- 書面審査

令和4年12月上旬～令和5年1月上旬（予定）

- ヒアリング審査

令和5年2月2日（木）、2月3日（金）

- 採択可否の通知

令和5年2月中旬（予定）

- 研究研究開発開始（契約締結等）

令和5年4月1日（土）（予定）

- ・ ヒアリング審査の対象となった場合は、原則としてヒアリング審査の1週間前までに研究開発代表者に電子メールで連絡します。
- ・ ヒアリング審査の日程は変更できません。
- ・ オンライン形式で実施します。

ヒト全ゲノムシーケンス解析プロトコールに関する方針について (公募要領 p.6-8)



- ヒト全ゲノムシーケンス解析のプロトコールについては、特に下記の項目について明記することが求められます。
 - ライブラリー作成（キット名、断片長等）
 - シーケンス反応（キット名、リード長等）
 - 解析装置の機種名（機種名・型番等。外注の場合は外注先も記入）
 - クオリティーコントロール（QC）の方法
 - リファレンスゲノムとのマッピング及びアセンブルの方法
- 詳細については、本日担当者が説明致します。

- 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。
- 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。
- 申請様式ファイルは、**PDF形式（最大15MB）でのみ**アップロード可能となっています。
- 「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。必ず**所属機関の承認の手続き**を行ってください。
- **操作方法**に関する問合せは、e-Radポータルサイト（<https://www.e-rad.go.jp/>）のヘルプデスク（TEL: 0570-066-0622）にて受け付けます。**事業担当課ではお答えできません。**

研究費の不合理な重複及び過度の集中の排除 (公募要領 p.20-21)

- 本事業の応募段階において、同様の研究内容で他の競争的研究制度への応募することは制限してありませんが、**他の競争的研究制度に採択された場合は速やかにAMED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り消し等を行う可能性があります。
- 本事業への提案書類の提案後に、同様の研究内容で**他の競争的研究費制度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り消し等を行う可能性があります。

AMEDとしては下記の項目等への積極的な取組みを求めています。

- 国民や社会との**対話・協働**の推進
 - ✓ 多様なステークホルダー（研究者、国民、メディア、産業界、政策形成者、等）による対話
 - 医学研究・臨床試験における**患者・市民参画（PPI）**の推進
 - ✓ 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
 - 各種データベースへの協力
 - ✓ NBDCからのデータ公開、CINへの登録、既存研究基盤の利用、等
- また、下記のような仕組みの利用も推進しています。
- 知財コンサルテーション支援
 - ✓ AMED知的財産コンサルタント・AMED知財リエゾンの利用（無料）
 - 研究機器の共用促進
 - ✓ 一定の要件のもと、研究機器の共用使用及び合算購入を認可

- はじめに
- 医薬品等規制調和・評価研究事業 概要説明
- 令和5年度1次公募 概要説明
- **公募課題説明**
- 質疑応答

令和5年度1次公募課題

#	公募研究開発課題	研究開発費の規模 (間接経費を含まず)		研究開発実施 予定期間	新規採択 課題 予定数
1	新規医薬品等の開発の環境整備に 資する研究	1 課題当たり年間 28,000千円上限		最長3年 令和5年度～ 令和7年度末	0～2課題 程度
2	医薬品等の品質、有効性、安全性 等の評価、分析法等の開発に資する 研究	大型研究	1 課題当たり年間 60,000千円上限	最長3年 令和5年度～ 令和7年度末	0～1課題 程度
		中型研究	1 課題当たり年間 12,000千円上限	最長3年 令和5年度～ 令和7年度末	0～5課題 程度
		小型研究	1 課題当たり年間 4,000千円上限	最長3年 令和5年度～ 令和7年度末	0～3課題 程度

(注1) 研究開発費の規模等は、申請額がそのまま認められることを確約するものではありません。

(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) 予算状況等によって、研究の2年度目以降の研究開発費が変動することがあります。

1. 新規医薬品等の開発の環境整備に資する研究（1）

（様式1）研究開発提案書(p.1)の公募研究開発課題名を選択してください。

e-Rad上の公募名はこちらです。

<目標>

本公募では、新規モダリティ医薬品に関する品質や安全性の具体的な評価法等を開発するとともに、評価法の標準化を進め、ガイドライン案や基準等の改正に必要な科学的エビデンスを創出、増強することを目標とします。

（様式1）研究開発提案書(p.1)の該当テーマを選択してください。

<求められる成果>

- 研究成果の規制への反映
- 本公募では、以下の研究を推進する提案を募集します。
 - ①診断と治療が融合した放射性医薬品の品質試験法に関する研究
 - ②アデノ随伴ウイルスベクターを用いた遺伝子治療用製品の安全性評価法に関する研究

<研究費の規模等>

- (1) 研究費の規模：1課題当たり年間 28,000千円上限（間接経費含まず）
- (2) 研究開発実施予定期間：令和5年度～令和7年度末（最長3年）
- (3) 採択予定課題数：0～2課題程度

<採択条件【書類を添付する等、条件を満たしていることを示すこと】>

関係者（専門家、行政、業界団体等）の意見が反映される体制が整備されていること。

1. 新規医薬品等の開発の環境整備に資する研究（2）

● 研究開発テーマ（1-①）：

診断と治療が融合した放射性医薬品の品質試験法に関する研究

背景	放射線医薬品は、γ線を利用した画像診断により適応患者を選別し、α線やβ線を利用した治療薬に繋げる、という診断と治療が融合した研究開発が加速し、臨床試験も進められている。しかし、薬事以外に放射線規制も関与する複雑さもあり、研究開発の道筋は明確にされていない。海外の規制当局は規制要件の文書化に取り組んでおり、我が国でも当該医薬品の品質を中心に、研究開発から市販後までの広い範囲で規制上の課題を抽出し、解決策を提言することが求められている。
本テーマの研究成果の例	- 放射性医薬品に関する研究開発から市販後の適正使用までの規制上の問題点の抽出と解決策の提言 - 放射性医薬品の医療上のリスク・ベネフィットを考慮した品質試験の考え方の提言
応募にあたっての留意点	国際動向を調査し、国際的な議論の流れにあった提言を取り纏めること

1. 新規医薬品等の開発の環境整備に資する研究（3）

● 研究開発テーマ（1-②）：

アデノ随伴ウイルスベクターを用いた遺伝子治療用製品の安全性
評価法に関する研究

背景	アデノ随伴ウイルス (AAV) ベクターを用いた遺伝子治療用製品の開発が活発化している。AAVベクターは病原性のない安全なベクターとされているが、最近、海外の複数の治験で、AAVベクターの大量投与時に免疫応答に起因すると考えられる重篤な有害事象（肝毒性や肺水腫、血小板減少、神経炎症等）が報告されており、原因究明に向けた早急な取り組みが必要とされている。
本テーマの研究成果の例	• AAVベクターの大量投与時に生じる毒性発現に関する基盤データの取得 • 臨床における毒性を予測・評価する手法の構築
応募にあたっての留意点	• AAVベクターを用いた遺伝子治療用製品を開発している企業と連携すること

2. 医薬品等の品質、有効性、安全性等の評価、分析法等の開発に資する研究（1）



e-Rad上の公募名
はこちらです。

（様式1）研究開発提案書(p.1)の公募研究開発課題名
（大型研究、中型研究、小型研究）を選択してください。

<目標>

本公募では、先端技術を用いた医薬品等の評価技術を開発し、その過程で評価要件・技術要件・規制要件を明確化するための科学的エビデンスを蓄積するとともに、開発・活用環境における問題点及び関連する薬事上の課題を抽出し、解決策を提言することを目標とします。

<求められる成果>

（様式1）研究開発提案書(p.1)の該当テーマ
を選択してください。

- 研究成果の規制への反映

- 本公募では、以下の研究を推進する提案を募集します。

【大型研究】

- ①医薬品の重篤副作用に関するバイオマーカーの適格性確認についての研究

【中型研究】

- ①医薬品の重篤副作用に関する「予測・予防型」ゲノムバイオマーカーの探索研究

- ②リアルワールドデータを用いた妊婦・授乳婦等における医薬品の安全性・有効性のエビデンス創出に関する研究

- ③ナノ粒子製剤の粒子構成成分の品質に関する研究

- ④医療機器の感作性試験動物実験代替法の高度化と標準化に関する研究

- ⑤その他、医薬品等の品質・有効性・安全性等の評価、分析法等の開発に関する研究

2. 医薬品等の品質、有効性、安全性等の評価、分析法等の開発に資する研究（2）

＜求められる成果＞

【小型研究】

- ①自己由来細胞加工製品の製造実態に関する調査研究
- ②リアルワールドデータを用いた医療機器の市販後適正使用に資する研究
- ③その他、医薬品等の品質・有効性・安全性等の評価、分析法等の開発に関する研究

＜研究費の規模等＞

(1) 研究費の規模：

【大型研究】1課題当たり年間 60,000千円上限（間接経費含まず）

【中型研究】1課題当たり年間 12,000千円上限（間接経費含まず）

【小型研究】1課題当たり年間 4,000千円上限（間接経費含まず）

(2) 研究開発実施予定期間：令和5年度～令和7年度末（最長3年）

(3) 採択予定課題数：

【大型研究】0～1 課題程度

【中型研究】0～5 課題程度

【小型研究】0～3 課題程度

e-Rad上でも、大型研究、中型研究、小型研究と別れていますので、応募の際にはご注意ください。

＜採択条件【書類を添付する等、条件を満たしていることを示すこと】＞

関係者（専門家、行政、業界団体等）の意見が反映される体制が整備されていること。

2. 医薬品等の品質、有効性、安全性等の評価、分析法等の開発に資する研究（3）

● 研究開発テーマ（21-①、大型研究）：

医薬品の重篤副作用に関するバイオマーカーの適格性確認についての研究

背景	間質性肺炎等の医薬品の重篤な副作用は死亡例も発生するなど大きな問題であるが、その発症や重症化回避策はあまり進んでいない。重篤な副作用の回避のためには、確定診断や早期診断に利用できるバイオマーカーの開発が有効であり、臨床現場で活用できるバイオマーカーの早期開発が求められている。
本テーマの研究成果の例	• PMDAのファーマコゲノミクス・バイオマーカー相談による、バイオマーカーの適格性確認の取得 • バイオマーカーの適格性確認を取得するための試料の収集、解析結果等の取得
応募にあたっての留意点	• 国際調和の観点から、clinical validation、clinical utilityを示すことが可能な体制を構築すること • PMDAの安全対策業務担当部署と連携すること

2. 医薬品等の品質、有効性、安全性等の評価、分析法等の開発に資する研究（4）

● 研究開発テーマ（22-①、中型研究）：

医薬品の重篤副作用に関する「予測・予防型」ゲノムバイオマーカーの探索研究

背景	医薬品の重篤な副作用について発症例の傾向はあっても、その発症メカニズムは十分に解明されていない。HLA遺伝子型のように、ゲノム情報を用いて事前にリスク因子を持つ患者を特定できれば、予測・予防型の安全対策に大きく貢献でき、日本人を対象としたゲノムバイオマーカー研究が求められている。
本テーマの研究成果の例	- 重篤副作用の発症と関連する新規のゲノムバイオマーカーの探索あるいは既知のゲノムバイオマーカー候補の検証 - 当該分野での添付文書等への反映に資する科学的エビデンスの創出、反映に関する提言

2. 医薬品等の品質、有効性、安全性等の評価、分析法等の開発に資する研究（5）

● 研究開発テーマ（22-②、中型研究）：

リアルワールドデータを用いた妊婦・授乳婦等における医薬品の安全性・有効性のエビデンス創出に関する研究

背景	妊婦・授乳婦に対する医薬品の安全性に関する情報は世界的にも乏しく、不必要な人工妊娠中絶や医薬品使用の制限が生じている。ICHでも臨床試験へ妊婦を組み入れることが新たなトピックとして採択され、安全性情報を収集する必要性が高まっている。日本には、妊娠と薬情報センター等のネットワークがあり、リアルワールドデータから得られる情報を活用することで、この分野の発展が期待できる。
本テーマの研究成果の例	・ 妊娠中の市販後の医薬品曝露情報に関するデータベースの構築、整備 ・ リアルワールドデータを用いた、妊婦・授乳婦等の特定の背景を有する患者への医薬品の適正使用に関するエビデンスの創出

2. 医薬品等の品質、有効性、安全性等の評価、分析法等の開発に資する研究（6）

● 研究開発テーマ（22-③、中型研究）：

ナノ粒子製剤の粒子構成成分の品質に関する研究

背景	新型コロナウイルス感染症に対するmRNAワクチンに代表されるように、新規モダリティの有効成分の目的部位への送達や安定性の向上等のために、リポソーム、脂質ナノ粒子（LNP）、高分子ミセル等のDDS技術の重要性が高まっている。しかし、これらのナノ粒子製剤への機能付与を目的とした粒子構成成分（添加剤）の品質に求められる基準や評価法の検討は、国際的にも進んでいないのが現状である。今後の新規モダリティ医薬品の開発促進のために、粒子構成成分の品質評価法の開発や品質管理指針案の作成が求められている。
本テーマの研究成果の例	• mRNA-LNPなどのナノ粒子製剤を構成する高機能性の粒子構成成分の品質評価技術の開発 • 新規モダリティ医薬品開発における、高機能性の粒子構成成分の品質管理指針案の作成
応募にあたっての留意点	• 取り扱う粒子の種類、範囲については、研究実現性を考慮して、適宜設定すること • メーカーとの協力体制を構築して研究を進めること

2. 医薬品等の品質、有効性、安全性等の評価、分析法等の開発に資する研究（7）

● 研究開発テーマ（22-④、中型研究）：

医療機器の感作性試験動物実験代替法の高度化と標準化に関する研究

背景	今般、医療機器の生物学的安全性評価に係る国際規格であるISO10993-1（基本的考え方）、10993-18（化学的特性）の改訂が決定され、10993-17（曝露量評価）も改訂作業中である。動物福祉の観点から、皮膚感作性試験動物実験代替法試験パッケージの開発と標準化は急務である。また、近年、光曝露される可能性の高いIoTウェアラブル機器等については、接触皮膚炎の発症が報告されているため、光感作性を評価することも重要と考えられる。
本テーマの研究成果の例	• 皮膚感作性試験動物試験代替法試験パッケージの開発 • in vitro光感作性試験法の開発と性能検証 • 当該動物実験代替法試験パッケージの標準化

2. 医薬品等の品質、有効性、安全性等の評価、分析法等の開発に資する研究（8）

● 研究開発テーマ（23-①、小型研究）：

自己由来細胞加工製品の製造実態に関する調査研究

背景	自己由来ヒト細胞加工製品は、患者から採取する細胞の状態やバラツキにより、一部の承認規格を満たさない「規格外品」が発生しやすいという特徴があるが、開発段階ではデータが限られており、規格設定の妥当性を十分に検討することは難しい。そこで、市販後の製品について、規格外品の発生状況等の実態を調査し、人道的な立場からの製品提供に関する技術的な要件等の検討を行いたい。
本テーマの研究成果の例	・ 国内外の自己由来ヒト細胞加工製品における市販後の製造実績（規格外品の発生状況等）の調査 ・ 規格項目（純度、含量、性状、不純物、力価等）ごとの逸脱原因の考察や製品提供に関する技術的な要件等についての提言

2. 医薬品等の品質、有効性、安全性等の評価、分析法等の開発に資する研究（9）

- 研究開発テーマ（23-②、小型研究）：

リアルワールドデータを用いた医療機器の市販後適正使用に資する研究

背景	医療機器では、承認時における臨床データが不足していることが多く、学会での使用指針に基づいて、適正使用を図っている。適正使用指針は、都度最適化するとともに、実臨床に合わせて医療機器の仕様を変更していくことが医療機器の有効性、安全性を確保するためには重要である。そこでリアルワールドデータの活用により、当該疾患に最適な医療機器と適正使用指針を提供することで、個々の医療機器の有効性、安全性の最適化を行いたい。
本テーマの研究成果の例	・ リアルワールドデータに基づいた適正使用指針の見直し、及び見直しにかかるモデルケースの提示

- はじめに
- 医薬品等規制調和・評価研究事業 概要説明
- 令和5年度1次公募 概要説明
- 公募課題説明
- **質疑応答**

応募前に再度チェックをお願いします

- 応募内容は公募趣旨にあっているか？レギュラトリーサイエンスを充実・強化する研究提案になっているか？（個別の医療用製品の開発や個人的な科学的興味の充足は、本事業の対象外です）
- 求められる成果に記載されているように、研究成果は将来的に規制への反映を目指したものになっているか？
- 関係者（専門家、行政、業界団体等）の意見が反映される体制が整備されているか？（採択条件）

皆様からの応募を心よりお待ち申し上げます

本研究事業に関するお問い合わせは下記までお尋ねください。

日本医療研究開発機構（AMED）

創薬事業部

規制科学推進課

医薬品等規制調和・評価研究事業 事務局

TEL: 03-6870-2235

E-mail: kiseikagaku@amed.go.jp