



令和5年3月9日

# 医薬品等規制調和・評価研究事業 令和5年度 2次公募説明資料

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2次公募 概要説明**
- **公募課題説明**
- **問い合わせ先**

- 本公募説明資料は、本事業の令和5年度2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2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\\_00021.html](https://www.amed.go.jp/koubo/11/03/1103B_00021.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2次公募 概要説明
- 公募課題説明
- 問い合わせ先

## 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）

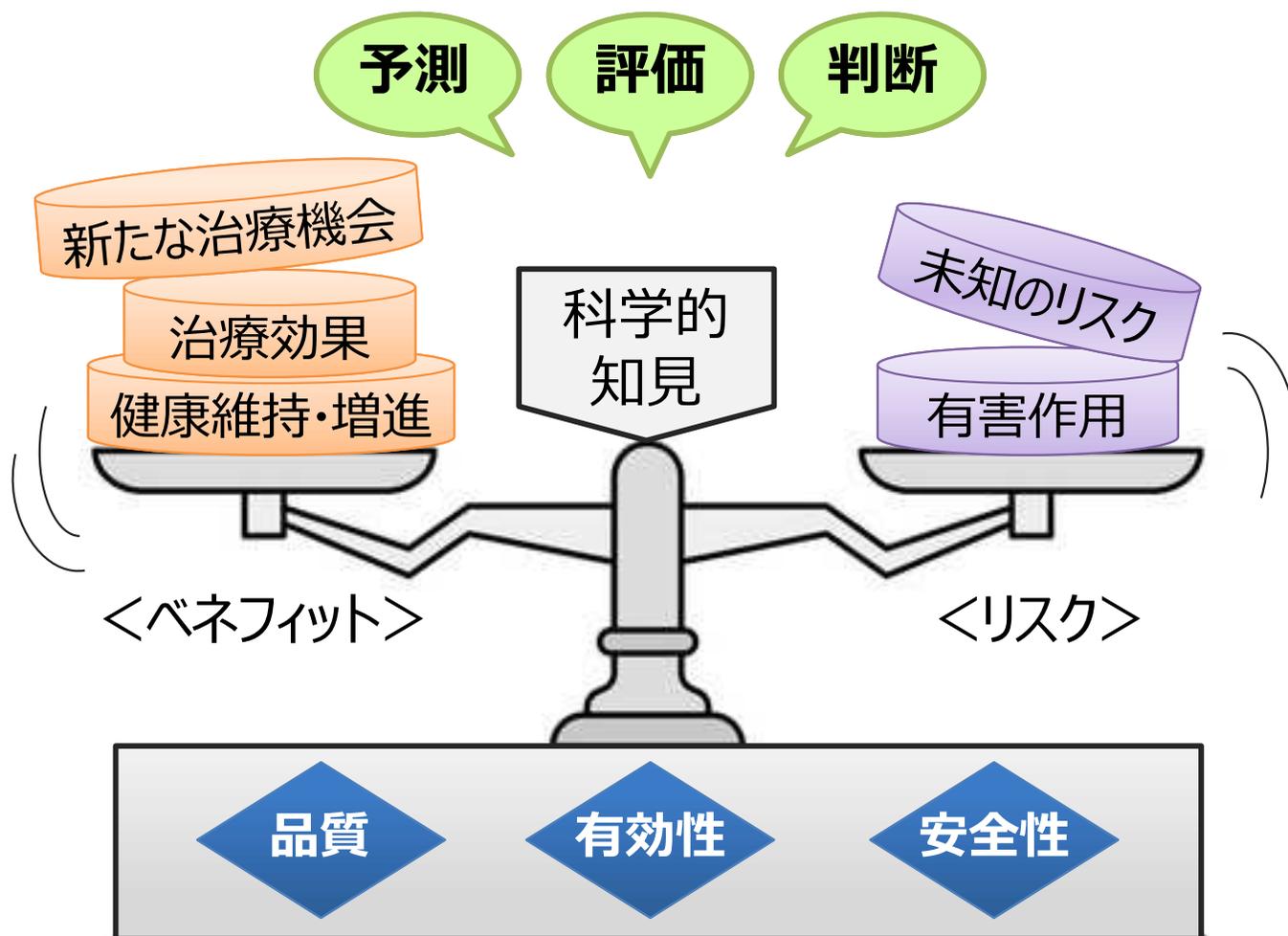
**新しい分析ツール**が開発されると、品質・安全性評価の質の向上が期待されるが、実際にどの程度、品質・安全性の評価に使えるかはわからないため、品質・安全性評価に用いた際の**能力と限界**を明らかにする必要がある。各医薬品に適した評価法を開発すると共に、評価法を**標準化**する必要がある。

## 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、**国際調和を図りつつ、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<sup>の充足は、</sup>**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**

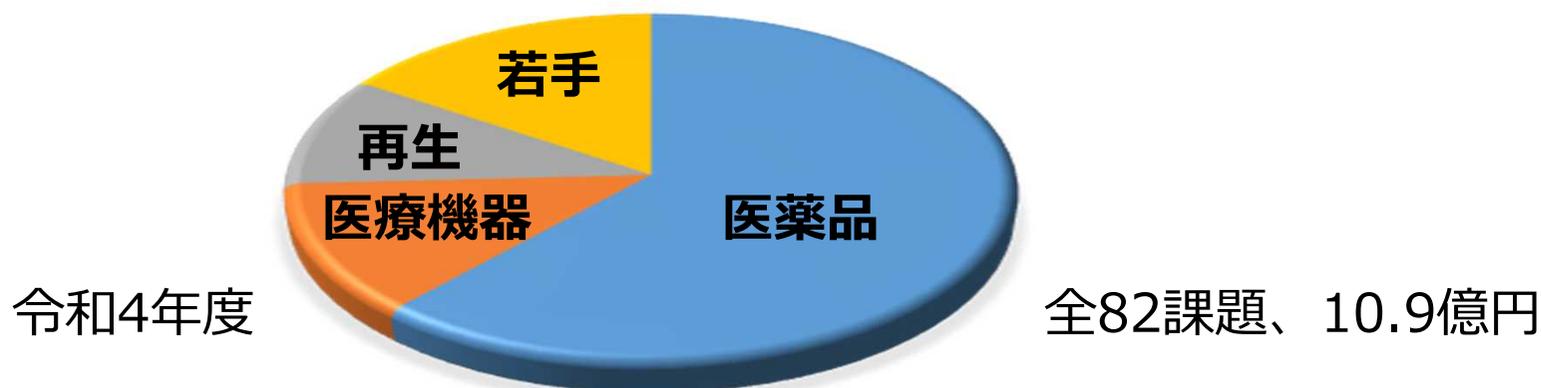
大阪はびきの医療センター 次世代創薬創生センター

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**



- 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2次公募 概要説明**
- 公募課題説明
- 問い合わせ先

# 令和5年度2次公募スケジュール



- 提案書類受付期間

令和5年3月3日（金）～4月4日（火）【12:00】（厳守）

- 書面審査

令和5年4月上旬～令和5年5月上旬（予定）

- ヒアリング審査

令和5年5月24日（水）、5月25日（木）

- 採択可否の通知

令和5年6月下旬（予定）

- 研究研究開発開始（契約締結等）

令和5年8月1日（火）（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.7~9)



- 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、以下をご覧ください。

<https://www.amed.go.jp/content/000105020.pdf>

- 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.22~24)



- 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おりませんが、**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2次公募 概要説明
- **公募課題説明**
- 問い合わせ先

# 令和5年度2次公募課題(公募要領 p.10~14)



#	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	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 24,000千円上限	最長2年8ヶ月 令和5年8月(予定) ~令和7年度末	0~1課題程 度
		中型研究	1 課題当たり年間 7,000千円上限		0~4課題程 度
		小型研究	1 課題当たり年間 4,000千円上限		0~3課題程 度
2	医薬品・医療機器・再生医療等製品等に係るレギュラトリーサイエンスに関する研究(若手育成枠)		1 課題当たり年間 2,000千円上限	最長2年8ヶ月 令和5年8月(予定) ~令和7年度末	0~4課題程 度
3	医薬品・医療機器・再生医療等製品等に係る国際的な共通課題に関する研究(国際枠)		1 課題当たり年間 5,000千円上限	最長2年8ヶ月 令和5年8月(予定) ~令和7年度末	0~2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。

(注5) 【若手育成枠】（若手研究者が研究開発代表者となる課題）は、研究開発代表者が以下の条件を満たす者であることとします。

令和5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58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55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。

公募要領記載の留意事項もご覧ください。

# 1. 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の開発又は検証、その過程での評価要件・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の蓄積、データ利活用のための環境整備や基盤整備等を通じて、関連する薬事上の課題の抽出及び解決策の提言を目標とします。

## <求められる成果>

- 医薬品・医療機器・再生医療等製品等の品質、有効性及び安全性の評価法の開発又は検証及び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。

（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。

## 【大型研究】

- ① 遺伝子改変動物由来の臓器・組織の品質・安全性に関する研究

## 【中型研究】

- ① 革新的放射線治療機器の線量評価法の標準化に関する研究
- ② 小児用医療機器の開発を推進する環境整備に関する研究
- ③ DXを活用した医薬品等の品質管理及び品質保証の強化に関する研究
- ④ 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

# 1. 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希少がん治療におけるリアルワールドデータを用いた抗がん剤の市販後適正使用に資する研究
- 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：

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。

【大型研究】1課題当たり年間 24,000千円上限（間接経費含まず）

【中型研究】1課題当たり年間 7,000千円上限（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(8月)～令和7年度末（最長2年8ヶ月）

(3) 採択予定課題数： 【大型研究】0～1 課題程度

【中型研究】0～4 課題程度

【小型研究】0～3 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. 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（11-①、大型研究）：

## 遺伝子改変動物由来の臓器・組織の品質・安全性に関する研究

背景	<p>2022年1月米国で、世界で初めて免疫拒絶に関わる遺伝子等を人為的に欠損させたブタの心臓が末期心臓病患者に移植された。近年、このような遺伝子を改変した動物の臓器・組織をヒトに移植する研究が世界中で活発化している。</p> <p>遺伝子改変動物由来の臓器・組織は、不足する移植用臓器・組織の供給源として期待されているが、患者への適用を目的として製造・販売される場合には再生医療等製品と同様の評価が必要になると考えられ、その品質・安全性に関する検討が必要である。</p>
本テーマの研究成果の例	<ul style="list-style-type: none"><li>• ウイルス等の感染因子検査法のバリデーション研究や免疫原性の評価法の開発。</li><li>• 異種移植のドナーとしての、動物飼育管理や遺伝子改変による製造管理・品質管理等に関する指針の検討。</li></ul>
応募にあたっての留意点	<ul style="list-style-type: none"><li>• 開発側と規制側の両方の意見を取り入れられるような研究体制を構築すること。</li></ul>

# 1. 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（12-①、中型研究）：

## 革新的放射線治療機器の線量評価法の標準化に関する研究

背景	<p>ホウ素中性子捕捉療法（BNCT）は、がん患者の生存やQOLに貢献する画期的な治療法であり、2020年3月に、本邦においてBNCT装置および線量計算プログラムが世界に先駆けて医療機器製造販売された。現在、国内では複数のメーカーによる装置やプログラムが開発されている状況であり、更に開発を推進・加速するためには、基準線量測定系等による客観的な評価システムの構築が求められている。</p>
本テーマの研究成果の例	<ul style="list-style-type: none"><li>• BNCT装置等の客観的かつ迅速な評価システムの構築。</li><li>• 評価システムを用いた迅速な薬事承認に向けた提言。</li></ul>
応募にあたっての留意点	<ul style="list-style-type: none"><li>• 規制当局と連携できる研究体制を構築すること。</li></ul>

# 1. 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（12-②、中型研究）：

## 小児用医療機器の開発を推進する環境整備に関する研究

背景	<p>小児用医療機器が対象とする疾患は症例数が非常に少なく、かつ解剖学的形態やサイズの多様性から治験による検証試験の実現可能性が低いことが指摘されている。また、小児においては、体格の変化に応じた長期臨床成績が成人よりも重要であるが、市販後臨床評価の負担を製造販売企業に課すことによつて、小児用医療機器開発が進まなくなることも指摘されている。よつて、小児用医療機器の有効性と安全性を担保しつつ、迅速に医療現場へ提供するには、市販前後の有効性及び安全性評価を一貫して行う産官学の連携体制づくりが必要であり、それに資する環境整備を行いたい。</p>
本テーマの研究成果の例	<ul style="list-style-type: none"><li>• 産官学の連携体制づくり。</li><li>• 市販前後の臨床データ収集・蓄積体制の整備。</li></ul>

# 1. 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（12-③、中型研究）：

## DXを活用した医薬品等の品質管理及び品質保証の強化に関する研究

背景	<p>一部の医薬品製造業者等による承認書の不遵守等の違反行為により、製品回収や業務停止処分による出荷停止などが発生し、医療現場に大きな混乱をもたらしている。製造業者による品質管理体制に不備があった可能性や、製造販売業者と製造業者の連携が不十分となり、製造販売業者による監督が機能していなかった可能性などが指摘されている。また、再生医療等製品のような高い製造技能を必要とする医薬品も増えていることから、これらに対応した、品質管理の支援も必要となっている。そこで、製造ルールのリアルタイムな明示化や製造販売業者による製造業者に対する遠隔での監視、熟練作業員の手技の普及等を可能とするため、DXを活用した品質管理及び品質保証の強化を行いたい。</p>
本テーマの研究成果の例	<ul style="list-style-type: none"><li>• 品質管理及び品質保証の強化に資する手法の開発（例えばAR、VR技術等を用いた支援ツールの開発）。</li><li>• 上記手法の活用、標準化に関する提言。</li></ul>

# 1. 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（13-①、小型研究）：

## 希少がん治療におけるリアルワールドデータを用いた抗がん剤の市販後適正使用に資する研究

背景	<p>がんゲノム医療では、希少がんの治療に、遺伝子変異を基にして抗がん剤を適応外使用する場合がある。同じ遺伝子変異でもがん種によって副作用等は異なることが想定され、安全性に関する情報が不足している中での適応外使用となっている。</p> <p>このため抗がん剤の使用に際し、リアルワールドデータを活用して不足する安全性情報を外挿できるような支援、また、抗がん剤の適応拡大に資する情報の活用が可能となるような支援を行いたい。</p>
本テーマの研究成果の例	<ul style="list-style-type: none"><li>・ 抗がん剤を他のがん領域へ適応拡大するために必要な情報・条件の探索。</li><li>・ 各病院の電子カルテ情報などリアルワールドデータの収集・利用法、体制・環境整備に関する提言。</li></ul>
応募にあたっての留意点	<ul style="list-style-type: none"><li>・ 遺伝子変異と抗がん剤の効果・安全性との因果関係が分かるようなデータを利用できること。</li></ul>

# 1. 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（13-②、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	<p>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。</p>
本テーマの研究成果の例	<ul style="list-style-type: none"><li>・ 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、モデルケースの提示。</li><li>・ モデルケースを基に、リアルワールドデータを用いて適正使用指針を見直す際の留意点等の提言。</li></ul>
応募にあたっての留意点	<ul style="list-style-type: none"><li>・ 海外の規制動向を把握して、国際整合性も視野に入れること。</li></ul>

## 2. 医薬品・医療機器・再生医療等製品等に係るレギュラトリーサイエンスに関する研究（若手育成枠）



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  
を選択してください。

### <目標>

本公募では、医薬品・医療機器・再生医療等製品等の品質、有効性及び安全性の評価等をより一層充実させることが求められていることを踏まえ、これらの新たな手法の開発に資する、若手研究者による主体的な新しい技術や視点を取り入れた研究の実施を目標とします。

### <求められる成果>

- 医薬品・医療機器・再生医療等製品等の品質、有効性及び安全性の評価手法の開発又検証
- 医薬品・医療機器・再生医療等製品等の開発を促進するためのガイドライン案の策定又はガイドライン案の策定に資する研究成果

### <研究費の規模等>

- (1) 研究費の規模：1課題当たり年間 2,000千円上限（間接経費含まず）
- (2) 研究開発実施予定期間：令和5年度(8月)～令和7年度末（最長2年8ヶ月）
- (3) 採択予定課題数： 0～4 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】>

年齢等について公募要領をご確認ください。

### 3. 医薬品・医療機器・再生医療等製品等に係る国際的な 共通課題に関する研究（国際枠）



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  
を選択してください。

#### <目標>

本公募では、日本国内の薬事規制にとどまらず、国際的な視点で課題を捉え、解決するため、医薬品等の品質、有効性及び安全性の評価手法に関する課題について、国際的な視点を持つ海外のエキスパート（AMEDレビューア）の評価も踏まえつつ検討し、国際的に共通する課題の解決に資する成果を得ることを目標とします。

#### <求められる成果>

- 医薬品・医療機器・再生医療等製品等の品質、有効性及び安全性の評価手法の開発又検証
- 医薬品・医療機器・再生医療等製品等の開発を促進するためのガイドライン案の策定又はガイドライン案の策定に資する研究成果

#### <研究費の規模等>

- (1) 研究費の規模：1課題当たり年間 5,000千円上限（間接経費含まず）
- (2) 研究開発実施予定期間：令和5年度(8月)～令和7年度末（最長2年8ヶ月）
- (3) 採択予定課題数： 0～2 課題程度

#### <特記事項>

本研究課題の審査には、海外研究機関に所属する研究者がAMEDレビューアとして査読に加わるため、通常の研究開発提案書（日本語）に加え、指定の英文の研究開発提案書も提出すること。

- 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2次公募 概要説明
- 公募課題説明
- **問い合わせ先**

# 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しております

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](mailto:kiseikagaku@amed.go.jp)