

令和5年11月10日



医薬品等規制調和・評価研究事業 令和6年度公募説明資料

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6年度公募 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6年度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6年度公募」の**公募要領を必ずご確認ください。**

https://www.amed.go.jp/koubo/11/03/1103B_00022.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6年度公募 概要説明
- 公募課題説明
- 問い合わせ先

- 医薬品等規制調和・評価研究事業では、**レギュラトリーサイエンス (RS)**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・特定の医薬品等の開発や事業趣旨に合わない基礎研究等**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

日本薬剤師研修センター 理事長

矢守 隆夫

その他、当事業に関する情報は下記ホームページをご参照下さい

<https://www.amed.go.jp/program/list/11/03/001.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6年度公募 概要説明**
- 公募課題説明
- 問い合わせ先

- 提案書類受付期間

令和5年11月1日（水）～**11月30日（木）【12:00】**（厳守）

- 書面審査

令和5年12月上旬～令和6年1月上旬（予定）

- ヒアリング審査

令和6年1月29日（月） 1月30日（火） 1月31日（水）（予定）

- 採択可否の通知

令和6年2月中旬（予定）

- 研究開発開始（契約締結等）

令和6年4月1日（月）（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。

※令和6年度は2次公募を実施しない予定です。

- 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**する必要があります。
- 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。
- e-Radに登録されている研究者情報と研究開発提案書の記載が異なる提案がみられます。e-Radの研究者情報も更新してください。
- **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: 0570-057-060 [ナビダイヤル]) にて受け付けます。**事業担当課ではお答えできません。**

ヒト全ゲノムシーケンス解析プロトコールについて (公募要領 p.14~16)



- AMEDは、政府の方針に基づき、様々なAMED研究課題で得られたヒト全ゲノムシーケンスデータをとりまとめて大規模なデータセットをつくり、研究開発に提供する基盤「AMEDデータ利活用プラットフォーム」の整備を進めています。
- 全ゲノムシーケンスデータの大規模解析には、個別のデータの解析プロトコールが揃っていることが、解析結果の精度に直接影響します。そのため、AMEDは、国費を投じて得られたデータを利活用した研究開発において精度の高い解析が可能となるよう、このプラットフォームが窓口となり共有されるヒトの全ゲノムシーケンスデータには、政府の方針※に基づき以下の2点を求めています。

- ① 既にプラットフォームで共有予定となっているデータと品質を同等に担保すること
- ② ゲノム解析の先進諸国との国際共同研究でも円滑に活用可能であること

※厚生労働省 第2回「全ゲノム解析等実行計画」の推進に向けた検討会議（令和3年2月16日、資料1）
内閣官房健康・医療推進戦略本部 第8回ゲノム医療協議会（令和4年3月30日、資料3、参考資料3）

- 既にこのプラットフォームで共有予定となっているヒト全ゲノムシーケンスデータとは、現時点では、内閣官房健康・医療推進戦略本部の第5回ゲノム医療協議会（令和3年3月16日）参考資料3で示されたデータのことです。
- ゲノム解析の先進諸国との国際共同研究とは、現時点では、英国のUK Biobankおよび Genomics Englandや、米国のAll Of Usなどの海外の大規模ゲノムデータリソースを用い、ゲノム医療研究で先行する欧米の研究機関と共同して実施するような研究を想定しています。

ヒト全ゲノムシーケンス解析プロトコールについて (公募要領 p.14~16)



- AMEDは、この目的を達成するため、全ゲノムシーケンスの解析プロトコールが公募要領の「3.2.7 データシェアリングについて」に記載されている以下の**5つの要件**を満たしているか確認しています。
 - 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

※ 全ゲノムシーケンス解析

次世代シーケンサーを利用した全ゲノムシーケンス解析及び全エクソーム解析を指します。なお、次世代シーケンサーを用いる解析のうち、全ゲノムまたは全エクソーム以外を対象とするゲノム解析や、アレイ解析、サンガー法によるシーケンス解析は含みません。

- ヒト全ゲノムシーケンス解析を実施する研究課題は、所定の様式※ を提出することにより、解析プロトコールの各項目を示す必要があります。様式が提出されていない場合には応募申請は「不受理」となり、審査の対象となりませんので、提案課題におけるヒト全ゲノムシーケンス解析の実施の有無については十分に注意してご判断ください。

※ ヒト全ゲノムシーケンス解析プロトコール様式

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.21~23)



- 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等へ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等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。

注) 実質的に同一の研究開発課題について、重複して提案したもののうち、片方の提案で先に採択が決まった場合、その時点で選考中の提案はご辞退いただくか、選考中の提案採択を優先する場合は、先に決まった採択課題をご辞退いただきます。

- 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。本事業への提案書類の提出後に、**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**をお願いします。

- はじめに
- 医薬品等規制調和・評価研究事業 概要説明
- 令和6年度公募 概要説明
- **公募課題説明**
- 問い合わせ先

#	分野、領域、テーマ等	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 27,000千円上限	令和6年4月 (予定) ~令和8年度末	0~3課題 程度
2	医薬品等に係る薬事規制の国際調和に資する研究	A 1 課題当たり年間 27,000千円上限	令和6年4月 (予定) ~令和8年度末	0~2課題 程度
		B 1 課題当たり年間 5,000千円上限		0~1課題 程度
3	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. 医薬品等 A 1 課題当たり年間 16,000千円上限	令和6年4月 (予定) ~令和8年度末	0~4課題 程度
		1. 医薬品等 B 1 課題当たり年間 8,000千円上限		0~4課題 程度
		1. 医薬品等 C 1 課題当たり年間 4,000千円上限		0~2課題 程度
		1. 医薬品等 D 1 課題当たり年間 2,000千円上限		0~2課題 程度

#	分野、領域、テーマ等	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	
3	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.医療機器 A	1 課題当たり年間 9,000千円上限	令和6年4月（予定） ～令和8年度末	0～2課題 程度
		3.市販後 安全対策 A	1 課題当たり年間 17,000千円上限	令和6年4月（予定） ～令和8年度末	0～2課題 程度
		3.市販後 安全対策 B	1 課題当たり年間 8,000千円上限		0～1課題 程度
4	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 4,000千円上限	令和6年4月（予定） ～令和8年度末	0～4課題 程度	

- （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。
- （2）課題申請時に規定されていた予算上限を超えていた場合は不受理とします。

他にも注意事項がございますので、公募要領の記載を必ずご確認ください。
研究開発提案書の作成にあたっての留意点も公募要領に記載されています。

1. 新規医薬品等の開発の環境整備に資する研究（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
分野、領域、テーマ名を選択してください。

<目標>

本公募では、新規モダリティ医薬品等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。

<求められる成果>

研究成果の規制への反映（ガイドライン案の策定、ガイドライン案の策定に資する研究成果、品質・有効性・安全性等の評価系の開発等）

- ① 再生医療等製品の品質評価のためのAI画像解析技術を応用した非破壊的な試験法の基盤整備に関する研究
- ② オルガノイド型細胞加工製品の品質特性評価法の確立に関する研究
- ③ メッセンジャーRNA（mRNA）を用いた医療モダリティの品質評価及び管理に関する研究

（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。

<研究費の規模等>

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	採択予定課題数
27,000千円（上限）／1課題（年間）	令和6年度～令和8年度末	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. 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）：

再生医療等製品の品質評価のためのAI画像解析技術を応用した非破壊的な試験法の基盤整備に関する研究

背景	<p>細胞加工製品の現在の主な品質評価技術は破壊的・侵襲的なためロットの一部だけを抜き取った検査になり、試験系の性能次第では評価を見誤る可能性があり、細胞加工製品の正確で効率的な品質管理を困難にしている。</p> <p>近年、非侵襲的な細胞評価技術として、細胞培養の工程における細胞の画像に基づいて、細胞の特性を評価する技術が注目を集めており、画像解析にAI技術を取り入れた細胞加工製品の品質の客観的・定量的な記録、評価、予測手法に関する基盤整備が求められている。</p>
本テーマの研究成果の例	<ul style="list-style-type: none">細胞加工製品の品質として、細胞の状態の識別、不純物混入の判定等を非破壊的に解析可能な評価系の確立細胞加工製品の品質として、安全性や有効性に関連する機能予測を可能とする評価系の確立、もしくは、その評価系を活用することによる新たな性能予測因子の同定

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）：

オルガノイド型細胞加工製品の品質特性評価法の確立に関する研究

背景	<p>オルガノイド型細胞加工製品は従来の細胞加工製品に比べて多種類の細胞から構成され、よりヘテロで複雑な立体構造を有する細胞集団であることから、最終製品の品質特性解析に基づいた適切な品質評価法を開発することが、オルガノイド型製品の品質・安全性を確保する上で不可欠である。</p> <p>ヘテロな細胞集団からなるオルガノイドの品質特性を解析する手法として、1細胞レベルでの遺伝子発現を観察するシングルセル遺伝子発現解析法（scRNA-seq法）が目覚ましく進歩している一方で、製品の臨床応用において品質・有効性・安全性上の妥当性判断に資する品質特性を評価する手法は未だ確立されておらず、その開発が必要とされている。</p>
本テーマの研究成果の例	<ul style="list-style-type: none">・ オルガノイド等の3次元ヒト細胞加工製品の臨床応用における品質・有効性・安全性に関する評価法の開発

1. 新規医薬品等の開発の環境整備に資する研究（4）

● 研究開発テーマ（1-③）：

メッセンジャーRNA（mRNA）を用いた医療モダリティの品質評価及び管理に関する研究

背景	<p>新型コロナウイルス感染症のmRNAワクチン開発の成功を契機に、mRNAを用いた医療モダリティの研究開発が活発化している。様々な感染症に対して複数のワクチンの開発が臨床試験段階にあるほか、疾患の治療を目的としたmRNA医薬やCas9等の外来分子をmRNAとして導入するゲノム編集製品についても臨床開発が進んでいる。これらのモダリティは長鎖の1本鎖RNAで構成されており、従来の医薬品とは分子構造や製造方法が異なることから、品質管理においては特有の考慮事項が存在する。これまでにmRNAの品質評価に用いる様々な分析手法が開発されており、これらを品質管理における実効性の高い手法とするためにはmRNA関連標準物質等を用いた性能検証が必要である。</p>
本テーマの研究成果の例	<ul style="list-style-type: none">• mRNA関連標準物質の作製• mRNAを用いた医療モダリティの品質評価及び管理に用いる各種分析法とその特徴等を明確化したガイダンスの作成

2. 医薬品等に係る薬事規制の国際調和に資する研究（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
分野、領域、テーマ名を選択してください。

<目標>

本公募では、医薬品規制調和国際会議（ICH）等での国際調和に向けた取り組みにおける議論に必要な調査・試験研究・基盤整備に関する研究を行うことを目的とします。

<求められる成果>

研究成果の規制への反映（ガイドライン案の策定、ガイドライン案の策定に資する研究成果、品質・有効性・安全性等の評価系の開発等）

（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。

【A】

- ① 医薬品の品質及び安全性確保のための評価手法等に係る国内基盤整備と国際調和の推進に資する研究
- ② ヒトiPS細胞技術とAIを用いた抗がん剤心毒性評価法の開発と国際標準化に関する研究

【B】

- ① 先進的手法を用いた医薬品の製造・品質管理及び評価手法におけるライフサイクルマネジメントに関する研究

e-Rad上でも【A】 【B】 に別れています
ので、応募の際にはご注意ください。

<研究費の規模等>

	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	採択予定課題数
A	27,000千円（上限）／1課題（年間）	令和6年度～令和8年度末	0～2 課題程度
B	5,000千円（上限）／1課題（年間）	令和6年度～令和8年度末	0～1 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。

2. 医薬品等に係る薬事規制の国際調和に資する研究（2）

● 研究開発テーマ（2-A-①）：

医薬品の品質及び安全性確保のための評価手法等に係る国内基盤整備と国際調和の推進に資する研究

背景	<p>薬事規制の国際調和を推進するため医薬品の承認審査や市販後安全対策等にかかる共通のガイドラインを作成することを使命として創立された医薬品規制調和国際会議（ICH）において医薬品の品質管理、有効性、安全性評価に係る国際調和が進められている。ICHでは科学の進歩や経験の蓄積など、エビデンスベースで、既に合意に達したガイドラインの改定、更には革新的な医薬品や新たなモダリティに対する新規ガイドライン制定などの諸課題に対応しており、各国／地域に支持されるような重要な新規トピックを提案することは日本の重要な使命である。</p>
本テーマの研究成果の例	<ul style="list-style-type: none">• 日本主導での医薬品の品質の確保や安全性評価に係る課題の洗い出し。• 洗い出した課題への対処に係る新規試験法開発を含めた、国際的に協調可能な評価手法の確立。

2. 医薬品等に係る薬事規制の国際調和に資する研究（3）

- 研究開発テーマ（2-A-②）：

ヒトiPS細胞技術とAIを用いた抗がん剤心毒性評価法の開発と国際標準化に関する研究

背景	<p>これまでに国内外の検証試験によりヒトiPS心筋を用いた不整脈発生リスクの評価法が標準化され、ICH S7BのQ&AにiPS心筋が盛り込まれた。しかし、心毒性は抗がん剤によって発生する割合が高く、不整脈以外に心筋収縮障害、細胞毒性など多岐に渡ることからヒトに対する予測性を向上させるためには心筋収縮障害等の評価法を確立する必要がある。国際的に心毒性のAIモデル構築が喫緊の課題となっており、ヒトiPS心筋の機械学習・AIモデルの性能評価が求められている。</p>
本テーマの研究成果の例	<ul style="list-style-type: none">• ヒトiPS心筋を用いた心毒性のAIモデルの再現性や妥当性の検証、これらのデータを活用した国際検証試験の実施• ヒトiPS心筋を用いた抗がん剤心毒性の指針案の作成

2. 医薬品等に係る薬事規制の国際調和に資する研究（4）



● 研究開発テーマ（2-B-①）：

先進的手法を用いた医薬品の製造・品質管理及び評価手法におけるライフサイクルマネジメントに関する研究

背景	<p>連続生産やAnalytical Quality by Design (AQbD)などの先進的手法について、ICH Q13及びQ2(R2)/Q14として国際的なガイドラインの整備が進められている一方で、これらの先進的手法については産業界・規制当局ともに実経験が十分でなく、評価・管理の手法や薬事申請に用いる文書へ反映する上での留意事項などについては共通認識が得られていない。</p> <p>承認申請後の変更管理の体制や考え方について、ICH Q12において新たにエスタブリッシュトコンディション（EC）について調和合意されたものの、実態としてはガイドラインの考え方が十分に運用されておらず、海外と整合性のあるライフサイクルマネジメントを実行するための環境整備が求められている。</p>
本テーマの研究成果の例	<ul style="list-style-type: none">新たな製造・品質管理手法に対応した薬事申請に用いる文書等のモックアップの作成海外と整合性のある医薬品のライフサイクルマネジメントを実行するための環境整備に関する提言

3. 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
分野、領域、テーマ名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>

研究成果の規制への反映（ガイドライン案の策定、ガイドライン案の策定に資する研究成果、品質・有効性・安全性等の評価系の開発等）

【1.医薬品等 A】

- ① 医薬品の変異原性評価に係る動物試験代替法の開発に関する研究
- ② 天然物医薬品等の品質・安全性評価法の開発に関する研究
- ③ 医薬品等の微量不純物管理のための分析法及び管理方法等に関する研究
- 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

（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。

【1.医薬品等 B】

- ① 新興感染症パンデミックに備えた核酸増幅検査薬の性能評価手法に関する研究
- ② 革新的製造技術に対応したプロセス評価技術の開発及びCMC開発の標準化に関する研究
- 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

3. 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（続）>

（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。

【1.医薬品等 C】

- ① 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 D】

- ① 筋萎縮性側索硬化症に対する治療薬の臨床評価ガイドライン作成に関する研究
- ② 血糖降下薬の臨床評価方法に関するガイドライン作成に関する研究

e-Rad上でも【A】～【D】に別れていますので、応募の際にはご注意ください。

<研究費の規模等>

	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	採択予定課題数
A	16,000千円（上限）／1課題（年間）	令和6年度～令和8年度末	0～4 課題程度
B	8,000千円（上限）／1課題（年間）	令和6年度～令和8年度末	0～4 課題程度
C	4,000千円（上限）／1課題（年間）	令和6年度～令和8年度末	0～2 課題程度
D	2,000千円（上限）／1課題（年間）	令和6年度～令和8年度末	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。

3. 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（3-1-A-①）：

医薬品の変異原性評価に係る動物試験代替法の開発に関する研究

背景	<p>医薬品等の変異原性評価において、現状で最もヒトへの外挿性が高い試験法は遺伝子改変げっ歯類を用いた<i>in vivo</i>試験である。一方で、世界的には動物試験を削減する方向にあり、動物愛護の観点からもより高精度なヒトへの外挿性をもつ動物試験代替法の開発が急務である。次世代シークエンス技術等を用いた変異原性評価手法として低頻度体細胞変異検出法の開発が世界的に行われているが、げっ歯類や培養細胞株を用いた評価に留まっており、ヒト肝臓オルガノイド等を用いた変異原性発がん物質のヒトへのリスクを正確に評価する手法の開発が求められている。</p>
本テーマの研究成果の例	<ul style="list-style-type: none">• ヒト肝臓由来オルガノイド等を用いた変異原性評価手法の開発• 変異原性評価に関するガイドライン案の作成に資する変異原性評価結果

3. 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（3-1-A-②）：

天然物医薬品等の品質・安全性評価法の開発に関する研究

背景	<p>超高齢化、社会構造の多様化に伴う慢性疾患等への対応、セルフメディケーション推進等が社会的に要請される中で、漢方薬・生薬製剤の需要は高まっている。これら天然物医薬品類について品質確保された製剤の供給を担保するために、これまでもさまざまな品質評価手法が開発・標準化されて公定書に収載されてきたが、科学の進歩とともに得られる新規知見に基づき、これらの品質評価法はよりよいものに更新されていく必要がある。また、天然物医薬品の品質評価法等の国際調和についてはほとんど実施されていないが、世界的には天然物医薬品に頼る医療中心の国々は多く存在し、世界に範たる水準を有する我が国はその先導役となることが期待されている。</p>
本テーマの研究成果の例	<ul style="list-style-type: none">• 日本薬局方、日本薬局方外生薬規格での標準化に資する試験法の開発• 先端的技術を駆使した品質評価法の開発• 天然物医薬品の国際的な規制調和の推進とグローバルな研究ネットワークの拡充

3. 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（3-1-A-③）：

医薬品等の微量不純物管理のための分析法及び管理方法等に関する研究

背景	<p>医薬品の安全性を確保するため、ナノグラムレベルの微量で有害な作用を持つ不純物の管理に関する取り組みが国際的に進められている。発がん性物質であるニトロソアミン類については、2018年以降、国内外において複数の医薬品から検出され一部の製品が自主回収されている。厚生労働省においては、医薬品の製造販売業者に対し、製品中のニトロソアミン類の混入リスクの評価、含有量の分析、必要なリスク低減措置について自主点検を行うよう求めており、現在、製造販売業者においては、製品中のニトロソアミン類の分析法や管理方法、リスク評価法の開発等が急務となっている。また、現在の微量不純物の分析法については高額機器の使用が主流となっており、分析の実施にあたって大きな障害となっているため、汎用性の高い機器を用いた分析法の開発が必要である。</p>
本テーマの研究成果の例	<ul style="list-style-type: none">● 微量不純物の測定法の開発● 製造工程における微量不純物の管理方法とリスク評価法の開発

3. 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（3-1-B-①）：

新興感染症パンデミックに備えた核酸増幅検査薬の性能評価手法に関する研究

背景	<p>新型コロナウイルス感染症の発生を機に、ワクチンや治療薬とともに診断薬の迅速開発の重要性が浮き彫りとなった。特にパンデミック発生初期においては、ウイルスゲノム配列に基づいて短期間に開発できる核酸増幅検査薬のみが利用可能な診断薬となるため、その信頼性確保は特に重要である。</p> <p>パンデミック初期においては陽性検体の入手が困難であり、ウイルスの危険性が未知であることから、核酸増幅検査薬の性能評価では臨床検体に代わり疑似検体の活用を許容せざるを得ないが、カルタヘナ法との関連から品質が担保された人工RNAを製造するためには作成手法に留意が必要であり、また、生体試料に近い組成を持つ人工検体の開発が必要である。</p>
本テーマの研究成果の例	<ul style="list-style-type: none">臨床検体に代わる疑似検体の開発及び疑似検体の製造に関する留意事項の提示疑似検体を用いた性能評価に関する技術的ガイダンスの作成

3. 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（3-1-B-②）：

革新的製造技術に対応したプロセス評価技術の開発及びCMC開発の標準化に関する研究

<p>背景</p>	<p>製薬企業では、実生産に向けたスケールアップが最小限で開発期間を短縮でき、また時間管理で生産量を調整可能な医薬品の連続生産技術の開発・導入研究が活発に進められているおり、工程の要所毎に効率よく品質特性を評価可能なプロセス解析工学（PAT）技術の開発及び実装化が急務の課題である。</p> <p>一方、改訂中のICH Q9ガイドラインに“Product Availability Risk”として安定供給に関する項目が盛り込まれることとなり、安定供給に関するリスクマネジメント概念の国内導入・実装化が課題となるなか、連続生産におけるPAT工程管理の開発ならびに標準化を行い、規格・基準のあり方を提案するとともに、承認申請書に記載するべき技術的要件を明確化して例示することが必要である。</p>
<p>本テーマの研究成果の例</p>	<ul style="list-style-type: none"> 汎用的なフロー合成連続生産技術の開発及び高度センシング技術を用いた評価手法の開発 技術的要件をベースとしたPAT評価における規格・基準のあり方についての提言

3. 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（3-1-D-①）：

筋萎縮性側索硬化症に対する治療薬の臨床評価ガイドライン作成に関する研究

背景	<p>筋萎縮性側索硬化症（ALS）は、運動ニューロンが選択的にかつ進行性に変性・消失していく神経疾患であり予後不良の重篤な疾患である。ALSの臨床評価に関するガイドラインはFDAおよびEMAから公表されており、近年では、海外においてプラットフォーム試験を用いて複数の医薬品を同時並行で開発する試みもなされている状況である。一方、日本ではALSの臨床評価に関するガイドラインは作成されていない。</p> <p>ALSの臨床開発における課題を整理して、本邦におけるALS治療薬の臨床評価の考え方をガイドラインとして公表することで、国内の医薬品開発の促進につながり、効率的な開発方針を選択する一助にもなることが期待される。</p>
本テーマの研究成果の例	<ul style="list-style-type: none">• ALS治療薬の臨床評価ガイドライン案の作成

3. 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（3-1-D-②）：

血糖降下薬の臨床評価方法に関するガイドライン作成に関する研究

背景	<p>本邦での血糖降下薬の臨床開発については、「経口血糖降下薬の臨床評価方法に関するガイドライン」（以下OADガイドライン）において、承認に必要とされる臨床試験等が示されているところであるが、当該ガイドラインが発出されて10年以上が経過した。当該ガイドラインの発出以降、新規作用機序の経口血糖降下薬としてSGLT-2阻害剤が使用可能となり、また2型糖尿病治療においてGLP-1受容体作動薬の注射剤も汎用されるようになった。OADガイドラインでは経口剤の開発が主眼とされていることも考慮すると、今後の糖尿病治療薬の開発に資する臨床評価ガイドラインとして、インスリン製剤及びインスリン以外の非経口血糖降下薬も含めた糖尿病治療薬全体を包括するガイドライン改訂の必要性は高い。</p>
本テーマの研究成果の例	<ul style="list-style-type: none">● 糖尿病治療薬全体を包括する臨床評価方法ガイドラインの改訂案の作成

3. 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（10）

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
分野、領域、テーマ名を選択してください。

<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。

【2.医療機器 A】

- ① 医療機器の安全性や品質維持のための洗浄プロセスの検証に関する研究
- ② その他、医療機器の品質・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>

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	採択予定課題数
9,000千円（上限）／1 課題（年間）	令和6年度～令和8年度末	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。

3. 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（11）

- 研究開発テーマ（3-2-A-①）：

医療機器の安全性や品質維持のための洗浄プロセスの検証に関する研究

背景	<p>単回使用医療機器の廃棄物処理に伴う環境汚染問題、再使用可能及び再製造単回使用医療機器を使用することによる医療費削減の必要性、COVID-19やロシアのウクライナ侵攻による物資調達の困難さから、医療機器のSDGsの設定と達成が求められている。</p> <p>現在、器具除染用洗浄器に関する性能評価指標は存在するが、個々の医療機器に対する清浄性の評価法は存在せず個別対応となっており、リスクが異なる医療機器を包括するシンプルな清浄性評価法に対するニーズは高く、方法論の提案が喫緊の課題である。</p>
本テーマの研究成果の例	<ul style="list-style-type: none">• 簡便で汎用性が高い医療機器の残留物の評価法の開発

3. 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（12）

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
分野、領域、テーマ名を選択してください。

<求められる成果>

【3.市販後安全対策 A】

- ① 疫学的手法を用いたワクチンの安全性評価に関する研究
- ② 医療機器の市販後適正使用の速やかな推進と効率的な開発のための研究

【3.市販後安全対策 B】

- ① 医療機器の新たな安全性情報分析のための研究

（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。

e-Rad上でも【A】 【B】 に別れています
ので、応募の際にはご注意ください。

<研究費の規模等>

	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	採択予定課題数
A	17,000千円（上限）／1 課題（年間）	令和6年度～令和8年度末	0～2 課題程度
B	8,000千円（上限）／1 課題（年間）	令和6年度～令和8年度末	0～1 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。

3. 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（13）

● 研究開発テーマ（3-3-A-①）：

疫学的手法を用いたワクチンの安全性評価に関する研究

背景	<p>ワクチン接種後に生じる副反応については、接種後に想定され得る反応と未知の反応があり、医療機関等から報告された個々の症例の評価だけで、因果関係を特定することには限界がある。集積された（因果関係のないものも含む）情報から、副反応疑いの疾患を適切かつ網羅的に把握し、集団としての解析を実施する必要があるが、解析を実施するための明確な基準はない。</p> <p>報告された副反応の集団としての解析を実施するため、どの副反応の症状を解析対象とするか、どのような観察期間や、適切な解析対象としてのデータセットが必要となるかについて検証することが必要である。</p>
本テーマの研究成果の例	<ul style="list-style-type: none">市販後のRWD等の様々な情報を安全性の確認に活かすことができるような仕組みの構築ワクチン接種後の多種多様な副反応報告の中から、安全対策が必要なものを発見し、適切な対象に向け注意喚起する方法の確立

3. 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（14）

- 研究開発テーマ（3-3-A-②）：

医療機器の市販後適正使用の速やかな推進と効率的な開発のための研究

背景	<p>循環器系等の人体へのリスクが高い医療機器では、学会が作成する適正使用指針を遵守する旨添付文書に記載することで、市販後の適正使用が図られている。適正使用指針は、市販後の臨床実態を踏まえて適宜見直されるべきであるが、臨床データの蓄積には時間を要することから、タイムリーな見直しには限界がある。</p> <p>適切なヒト病態モデルを用いた非臨床試験を実施することにより、臨床データの蓄積に先駆けて科学的かつ速やかな適正使用の推進を図ること、また、非臨床試験を活用することにより、当該医療機器の医療ニーズを満たす適応範囲、使用方法、またその適切性を効率的に評価するとともに、より安全な使用方法や製品の改良も検討することが必要である。</p>
本テーマの研究成果の例	<ul style="list-style-type: none">• 非臨床試験を用いた医療機器のより最適な適正使用の検討に係るモデルケースの提示

3. 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（15）

- 研究開発テーマ（3-3-B-①）：

医療機器の新たな安全性情報分析のための研究

背景	<p>市販後に発生した有害事象は、薬機法で定められた不具合報告により報告され、必要に応じて安全対策が講じられているが、埋込医療機器等の人体へのリスクが高い医療機器については、その長期安全性が常に注視されている。そのため、医療機器の安全性をより広範な情報から速やかに分析することで、世界各国等から新たな情報を入手した際に、科学的かつ機動力のある安全対策を行うことが求められる。</p> <p>各種データベース及び多様な医療機器の特性を踏まえ、新たな情報を入手した際の効果的な分析手法を作成し、医療機器安全対策のためのエコシステム構築を目指すこと、また実際に作成された分析手法の妥当性を確認するため、個別事例での検証を行うことが必要である。</p>
本テーマの研究成果の例	<ul style="list-style-type: none">• 多様な医療機器の特性を考慮した、各種データベースからの安全性情報分析手法の作成、文書化及び検証

4. 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
分野、領域、テーマ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開発を促進するためのガイドライン案の策定、ガイドライン案の策定に資する研究成果、品質・有効性・安全性等の評価系の開発等

<研究費の規模等>

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	採択予定課題数
4,000千円（上限）／1課題（年間）	令和6年度～令和8年度末	0～4課題程度

<採択条件>

年齢等について公募要領をご確認ください。

公募対象課題としての若手育成枠（第2章）と若手研究者の登用（第4章）

2.2.4 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）

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6年4月1日時点において、①年齢が満43歳未満の者（昭和56年4月2日以降に生まれた者）、②又は博士号取得後10年未満の者のいずれか高い方を対象とします。③ただし、出産・育児又は介護により研究に専念できない期間があった場合は、①あるいは②に当該期間分（最長2年。延長の単位は月単位とし1月未満の日数は切り上げます）加算することができます。

若手研究者の登用を希望する場合に必要な提出書類等については公募要領（第4章 4.3）をご確認下さい。

4.3 若手研究者の登用について

本事業では、人材育成の推進を図ること等を目的として、それに適う若手研究者の登用を支援します。

上記の若手の条件に加えて以下の条件が追加されます。

- ・ 令和6年4月1日時点において、博士等の学位を有する者又はこれと同程度の研究能力があると認められる者。ただし、医師（日本の医師免許取得者）については、博士の学位の有無に関わらず医学部卒業後2年以上を経過した者。
- ・ 当該事業の研究グループ等に参加している期間中、他の職を主たる職としない者。

- はじめに
- 医薬品等規制調和・評価研究事業 概要説明
- 令和6年度公募 概要説明
- 公募課題説明
- **問い合わせ先**

- 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・特定の医薬品等の開発や事業趣旨に合わない基礎研究等は、本研究事業の対象外です）
- 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）

皆様からの応募をお待ちしています。

本研究事業に関するお問い合わせは下記までお願い致します。

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

- 「3. 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」における「その他、医薬品等（or 医療機器）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」とは、どういう研究が対象になりますか。例示されていないテーマも対象ですか。

⇒ 求められる成果「研究成果の規制への反映（ガイドライン案の策定、ガイドライン案の策定に資する研究成果、品質・有効性・安全性等の評価系の開発等）」に合致する医薬品等（or 医療機器）の品質・有効性・安全性評価等に関わるレギュラトリーサイエンス研究を対象とします。

- 「４．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）」では、研究開発分担者も「若手研究者」の要件を満たす必要はありますか？

⇒ 研究開発分担者については「若手研究者」の要件を満たす必要はありませんが、「若手研究者」の要件を満たす研究開発代表者が主体的に提案・実施する研究計画であることが求められます。

- 応募時に年齢や博士号取得年の証拠となる書類を提出する必要はありますか？

⇒ e-Radの登録情報を参照しますので、応募時に証明書類の提出は必要ありませんが、提案書受理後～採択時まで必要に応じて関係書類を提出して頂く場合があります。