



令和6年度

# 公募要領

難治性疾患実用化研究事業

(1次公募)

令和5年11月

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

国立研究開発法人 日本医療研究開発機構

## 研究開発におけるダイバーシティ推進に係る取組メッセージ

「ダイバーシティ（多様性）」はイノベーションの源泉であり、一人ひとりの幸せや創造的な価値を実現するために必要不可欠な要素です。AMED は健康・医療に関する研究開発に参画するすべての分野と役割におけるダイバーシティを重要視しつつ、最新の医薬品と医療技術を必要としている我が国並びに世界の人々に一刻も早く届けることをミッションとしています。すなわち、国籍、性別、年齢、経歴等に由来する多様な専門性や価値観を有する人々の参画を奨励し、その能力と見識を十分に発揮できる環境の醸成に努めることでミッション達成を目指します。

健康・医療分野の研究開発におけるダイバーシティに係る重要な取組の一つは女性研究者のさらなる活躍を可能とする環境作りです。我が国の様々な研究分野において、男女共同参画における女性研究者の比率は欧米諸国の状況に比較して低く、AMED 事業においては優秀な女性研究者の積極的な登用・参画を促進するとともに、研究を遂行する過程における出産・育児・介護等のライフイベントを考慮した研究実施を支援していきます。

また、AMED 事業においては、支援する研究を適切に進めつつ、研究者に過大な負担がかからない課題評価や課題管理に従事する専門家についても多様な人材の登用を促進して研究資金配分機関として機能の高度化を図っていきます。

国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED）

理事長 三島 良直

## 社会共創の推進に係る取組メッセージ

AMED 事業である研究開発は、いずれも我が国における健康・医療に関する課題の解決に資するものであり、社会との対話や協働を通じて、国民の安全・安心を確保しつつ、社会から理解・信頼を得ながら実用化を進めることが必要です。研究開発成果を一刻も早く実用化し、患者・家族の元にお届けし、社会の発展に貢献するため、AMED 事業においては、研究開発の初期段階から倫理的・法的・社会的課題（ELSI：Ethical Legal and Social Issues）を把握・検討し、その対処方策を研究計画等に組み込んだ研究開発を推進します。

また、医療分野の研究開発の実施に当たっては、医療研究開発の現場がより良いものとなり、その結果として研究成果が社会により良い形で普及・還元されることに寄与することが求められます。そのためには、医療研究開発の意義やそれが社会にもたらす恩恵等を積極的に社会と共有すること、研究開発の立案段階から患者・市民参画（PPI：Patient and Public Involvement）によって社会のニーズに応えるような研究開発成果を創出すること、対等なパートナーシップに基づく研究者と患者・市民の協働が広がることが重要です。このような観点から、患者一人ひとりに寄り添い、その3つの 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・家族の元にお届けするという使命を果たすため、AMED 事業においては、医療研究開発プロセスにおいて、研究者が患者・市民の知見を取り入れる PPI の取組を推進します。

国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED）

理事長 三島 良直

# 目次

第 1 章 事業の概要 .....	6
1.1 事業の概要、現状、方向性、目標と成果 .....	6
1.2 事業の構成 .....	6
1.2.1 事業実施体制 .....	6
1.2.2 代表研究機関と分担研究機関の役割等 .....	7
第 2 章 公募対象課題 .....	8
2.1 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 .....	8
2.2 公募対象となる研究開発課題の概要について .....	11
第 3 章 応募要件 .....	12
3.1 応募資格者 .....	12
3.2 応募に当たっての留意事項 .....	13
3.2.1 府省共通研究開発管理システム（e-Rad）について .....	13
3.2.2 委託研究開発契約について .....	13
3.2.3 安全保障貿易管理について（海外への技術漏洩への対処） .....	13
3.2.4 国際連合安全保障理事会決議第 2321 号の厳格な実施について .....	15
3.2.5 男女共同参画等に関する取組の促進について .....	15
3.2.6 若手研究者の積極的な参画・活躍について .....	15
3.2.7 データシェアリングについて .....	16
3.2.8 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） .....	19
第 4 章 提案書類の作成・提出 .....	22
4.1 提案書類の作成 .....	22
4.1.1 応募に必要な提案書類 .....	22
4.1.2 提案書類様式の入手方法 .....	22
4.1.3 提案書類の様式及び作成上の注意 .....	22
4.2 研究開発提案書以外に必要な提出書類等について .....	23
4.3 提案書類の提出方法 .....	25
4.3.1 e-Rad での提出状況の確認 .....	25
4.3.2 e-Rad の使用に当たっての留意事項 .....	25
4.3.3 e-Rad の操作方法に関する問合せ先 .....	26
4.4 研究費の不合理な重複及び過度の集中の排除 .....	26
4.4.1 不合理な重複に対する措置 .....	26
4.4.2 過度の集中に対する措置 .....	27
4.4.3 不合理な重複及び過度の集中の排除の方法 .....	27
4.4.4 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の共有 .....	28
4.5 研究活動の国際化、オープン化に伴う新たなリスクに対する研究インテグリティの確保 .....	28
第 5 章 審査 .....	30
5.1 選考スケジュール .....	30
5.2 提案書類の審査方法 .....	31
5.2.1 審査方法 .....	31
5.2.2 審査項目と観点 .....	32

5.3 AMED における課題評価の充実.....	33
<b>第 6 章 情報の取扱</b> .....	<b>34</b>
6.1 提案書類等に含まれる情報の取扱い.....	34
6.1.1 情報の利用目的.....	34
6.1.2 必要な情報公開・情報提供等.....	34
<b>第 7 章 採択後の留意点</b> .....	<b>36</b>
7.1 採択の取消し等について.....	36
7.2 不正行為等に係る表明保証について.....	36
7.3 契約締結の準備について.....	36
7.4 データマネジメントプラン（DMP）の提出.....	37
7.5 研究開発タグ情報シートの提出.....	38
<b>第 8 章 契約の締結</b> .....	<b>39</b>
8.1 委託研究開発契約の締結.....	39
8.1.1 委託研究開発契約の締結にあたっての研究機関の責務.....	39
8.1.2 契約に関する事務処理.....	39
8.1.3 年度末までの研究開発期間の確保について.....	39
8.1.4 委託研究開発費の額の確定等について.....	39
8.2 委託研究開発費の範囲及び支払等.....	40
8.2.1 委託研究開発費の範囲.....	40
8.2.2 委託研究開発費の計上.....	41
8.2.3 研究設備・機器の共用推進に係る事項.....	41
8.2.4 委託研究開発費の支払.....	42
8.2.5 費目間の流用.....	42
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.....	43
8.2.7 委託研究開発費の繰越.....	43
8.3 取得物品の取扱い.....	43
8.3.1 取得物品の帰属.....	43
8.3.2 取得物品の研究開発期間終了後の取扱い.....	43
8.3.3 放射性廃棄物等の処分.....	43
<b>第 9 章 採択課題の進捗管理</b> .....	<b>44</b>
9.1 課題の進捗管理.....	44
9.2 中間評価・事後評価等.....	44
9.3 成果報告会等での発表.....	44
9.4 研究開発終了後の責務.....	45
<b>第 10 章 研究開発成果の取扱い</b> .....	<b>46</b>
10.1 論文謝辞等における体系的番号の記載について.....	46
10.2 研究開発成果報告書の提出と公表.....	46
10.3 DMP（研究開発終了時の最新版）の提出と公表.....	46
10.4 研究開発成果の帰属.....	46
10.5 研究開発成果の実用化に向けた措置.....	47
10.6 医療研究者・医療系学生向け知的財産教材.....	47
10.7 研究開発成果のオープンアクセスの確保.....	47
10.8 データの取扱い.....	47
<b>第 11 章 研究機関・研究者の責務等</b> .....	<b>49</b>
11.1 法令・指針等の遵守.....	49

11.2 委託研究開発費の執行についての管理責任 .....	50
11.3 研究倫理教育プログラムの履修・履修管理 .....	50
11.4 利益相反の管理 .....	52
11.5 研究機関における規程・体制等の整備 .....	53
<b>第 12 章 その他契約後の留意点 .....</b>	<b>54</b>
12.1 医療研究開発の「社会共創」の推進 .....	54
12.1.1 社会との対話・協働の推進 .....	54
12.1.2 医学研究・臨床試験における患者・市民参画（PPI）の推進 .....	54
12.2 RIO ネットワーク（研究公正担当者のネットワーク）への登録 .....	55
12.3 健康危険情報 .....	55
12.4 リサーチツール特許の使用の円滑化 .....	55
12.5 知的財産推進計画に係る対応 .....	55
12.6 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 .....	56
12.7 シーズ・ニーズのマッチング支援システム「AMED ぷらっと <sup>®</sup> 」 .....	56
12.8 創薬支援ネットワーク及び創薬事業部による支援 .....	57
12.9 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 .....	57
12.10 研究者情報の researchmap への登録 .....	58
12.11 開発したリソースの国内リソース拠点への寄託について .....	58
12.12 各種データベースへの協力 .....	58
12.13 博士課程学生の処遇の改善について .....	59
12.14 若手研究者の自立的・安定的な研究環境の確保について .....	60
12.15 登用される若手研究者の自発的な研究活動について .....	61
<b>第 13 章 不正行為等への対応 .....</b>	<b>62</b>
13.1 不正行為等（不正行為・不正使用・不正受給）への対応 .....	62
13.2 本事業以外の不正行為等（不正行為、不正使用及び不正受給）に係る報告 .....	62
13.3 不正行為等に対する措置 .....	62
13.4 本事業で申請及び参加資格の制限が行われた場合の他の競争的研究費等における制限 .....	63
13.5 他の競争的研究費等で申請及び参加資格の制限が行われた研究者等に対する制限 .....	63
13.6 不正事案の公表 .....	63
<b>第 14 章 お問い合わせ先 .....</b>	<b>64</b>
<b>第 15 章 公募研究開発課題の概要 .....</b>	<b>66</b>
A. 希少難治性疾患に対する画期的な医薬品 <sup>※1</sup> の実用化に関する研究分野 .....	66
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 .....	74
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 .....	81
D. 診療に直結するエビデンス創出研究分野 .....	88
F. 希少・未診断疾患に対する診断プログラム基盤の利活用を通じた患者還元を推進する研究 .....	99
G. 希少難治性疾患の克服に結びつく病態解明研究分野 .....	103

# 第 1 章 事業の概要

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（以下「本事業」という。）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、現状、方向性、目標と成果

難病とは、発病の機構が明らかでなく、治療法が確立していない希少な疾病であって、当該疾病にかかることにより長期にわたり療養を必要とすることとなる疾病を指します。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 3 年には 338 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。これらの未だ効果的な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、医療機器、再生医療等製品の開発研究等の推進が必要です

その種類が多い一方で症例数が少ないという難病の特性を踏まえた上で病態解明や治療法を開発を行う必要があります。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。

本事業では、「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」<sup>※</sup>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及び基金事業による研究開発を推進しています。また、競争的研究費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/kenkouiryu/senryaku/index.html>

本事業では以下の PS、PO を配置して運営に当たります。(PS、PO は事業の進捗に応じて追加・交代となる場合があります。)

役割	氏名	役職等
PS	楠 進	地域医療機能推進機構 理事
PO	浅井 史敏	株式会社セプトサピエ 取締役
PO	五十嵐 隆	国立成育医療研究センター 理事長
PO	池田 貞勝	東京医科歯科大学病院 がん先端治療部 准教授
PO	稲垣 治	元日本製薬工業協会 医薬品評価委員会 運営委員会幹事
PO	島田 隆	日本医科大学 名誉教授
PO	成川 衛	北里研究所 北里大学 大学院薬学研究科 教授
PO	西澤 正豊	新潟総合学園新潟医療福祉大学 学長
PO	和田 和子	大阪府立病院機構大阪母子医療センター 新生児科 主任部長
PO	渡邊 裕司	浜松医科大学 理事・副学長

### 1.2.2 代表研究機関と分担研究機関の役割等

本事業において、研究開発課題は代表研究機関及び必要に応じて分担研究機関が実施します。なお、研究機関と分担研究機関の役割等詳細については、巻末の別表を参照してください。

- (1) 「代表研究機関」とは、研究開発代表者が所属する機関をいいます。原則として研究開発代表者の主たる研究場所<sup>※1</sup>となるものであり、AMED とは直接、委託研究開発契約<sup>※2</sup>を締結します。第3章に示す国内の研究機関等であることが必要です。
- (2) 「分担研究機関」とは、代表研究機関を除く、研究開発分担者が所属する機関をいいます。研究開発分担者の主たる研究場所<sup>※1</sup>となるものであり、国内の研究機関等であることが原則です。海外で研究活動をする場合には、内容について AMED と契約時に必要な条件に適合するか確認が必要になります。分担研究機関は、代表研究機関と再委託研究開発契約を締結します。
- (3) 「研究開発代表者」とは、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名）をいいます。所属先は「代表研究機関」です。
- (4) 「研究開発分担者」とは、「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。所属先は「代表研究機関」又は「分担研究機関」のいずれかです。
- (5) 「研究開発担当者」とは「研究開発代表者」と、「分担研究機関」に所属する「研究開発分担者」のうち当該分担研究機関を代表する研究者（1名）をいいます。なお、代表研究機関と分担研究機関の役割等詳細については、巻末の別表を参照してください。

※1 所属機関と主たる研究場所が異なる場合は、別途御相談ください。

※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 公募対象課題

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 5 章を、それぞれ参照してください。

### 2.1 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 (上限) (間接経費を含まず)	最長 3 年 令和 6 年 4 月 (予定) ~ 令和 8 年度末	0~12 課題 程度
A-2		超希少難治性疾患に対する 医薬品のシーズ探索研究 (医薬品ステップ 0・ 超希少)	1 課題あたり年間 20,000 千円 (上限) (間接経費を含まず)		0~3 課題 程度
A-3		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 (上限) (間接経費を含まず)		0~8 課題 程度
A-4		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 (上限) ※ドラッグ・リポジショ ニングは 60,000 千円 (上限) (間接経費を含まず)		0~6 課題 程度
② 医療機器プロジェクト					
B-1	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 60,000 千円 (上限) (間接経費を含まず)	最長 3 年 令和 6 年 4 月 (予定) ~ 令和 8 年度末	0~1 課題 程度
B-2		医療機器の治験 (医療機器ステップ 2)	1 課題あたり年間 80,000 千円 (上限) (間接経費を含まず)		0~1 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 (上限) (間接経費を含まず)	最長 3 年 令和 6 年 4 月 (予定) ~ 令和 8 年度末	0~12 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 (上限) (間接経費を含まず)		0~7 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 (上限) (間接経費を含まず)		0~1 課題 程度



④ ゲノム・データ基盤プロジェクト					
D-1	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 (上限) (間接経費を含まず) (適応外の臨床研究を含む場合は上限 15,000 千円)	最長 3 年 令和 6 年 4 月 (予定) ~ 令和 8 年度末	0~5 課題程度
D-2		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・小児)			0~4 課題程度
D-3		超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・超希少)			0~4 課題程度
D-4		領域別の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・領域別)	1 課題あたり年間 25,000 千円 (上限) (間接経費を含まず)		0~3 課題程度
D-5		希少難治性疾患の診療に直結するプログラム医療機器開発の推進研究 (エビデンス創出・SaMD)	1 課題あたり年間 10,000 千円 (上限) (間接経費を含まず)		0~2 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	希少難治性疾患研究や薬事申請へのリアルワールドデータ利活用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 40,000 千円 (上限) (間接経費を含まず)	最長 3 年 令和 6 年度 4 月 (予定) ~ 令和 8 年度末	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基盤の利活用を通じた患者還元を推進する研究	希少・未診断疾患に対する診断プログラム基盤の利活用を通じた患者還元を推進する研究	1 課題あたり年間 600,000 千円 (上限) (間接経費を含まず)	最長 4 年 令和 6 年 4 月 (予定) ~ 令和 9 年度末	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による創薬標的の探索 (病態解明・Research 0)	1 課題あたり年間 10,000 千円(上限) (間接経費を含まず)	最長 3 年 令和 6 年 4 月 (予定) ~ 令和 8 年度末	0~6 課題程度
G-2		希少難治性疾患の病態メカニズムに基づいた創薬標的の検証 (病態解明・Research 1)	1 課題あたり年間 15,000 千円(上限) (間接経費を含まず)		0~4 課題程度

●注意事項

- (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。
- (3) 研究開発費の規模及び新規採択課題予定数等は、予算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。

- (4) 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4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。
- (5) 採択課題数は、それぞれの分野における応募の数、また内容に応じて、予定数から増減します。
- (6) 最終目標までのロードマップが明確な研究であることが求められます。
- (7) 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・経済的メリットを研究開発提案書へ具体的に記載してください。
- (8) 研究開発提案書の作成にあたり、以下の点も留意してください。
- ・ 事業趣旨及び公募課題の目的を理解し、研究の目的、特色・独創性、目標達成の可能性、期待される成果等を含む研究概要を具体的かつ簡潔に記載すること。
  - ・ 研究開発代表者が提案に至った独自の着想や独創性について、従来の研究動向では解決し得なかった課題点と対比し、記載すること。
  - ・ 研究全体の目標を達成するためのロードマップを作成し、研究（開発）項目ごとの達成しようとする研究目標の節目となる到達点・達成事項及び研究（開発）項目間の関連性を簡潔に記載すること。
  - ・ 研究終了後の将来構想について、想定する波及効果やインパクト等を記載すること。
  - ・ 体制図として、研究開発代表者、研究開発分担者、協力研究者、主な外部委託先等について、役割と相互連携関係を明示すること。
- (9) 「研究への患者・市民参画」※（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。
- ※ <https://www.amed.go.jp/content/000055212.pdf>
- (10) エビデンスを示すために AI を活用する場合は、研究遂行に必要な適切な専門家と連携すること。
- (11) 研究開発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。
- (12) 本事業で採択する課題において、新規に人の検体やデータを取得する計画を含んでいる場合は、検体等の提供者から同意を得る際に、「AMED が支援する研究開発課題のうち、新規に人の検体やデータの取得を開始する場合において、同意を得る際の説明文書に盛り込むべき事項（AMED 説明文書用モデル文案）」の「3. AMED 文案」を使用した説明文書を用いて同意を得ることを求めます。

(AMED 文案に関する補注)

AMED は、政府の健康・医療戦略に基づき、AMED が支援する研究で得られたデータが、研究や疾病予防、医薬品・医療機器等の開発等の目的において、データを取得した機関以外の第三者に提供され幅広く活用されるよう、データ利活用の推進に取り組んでいます。この目的で AMED は、AMED が支援する研究開発課題のうち、新規に人の検体やデータを取得する場合に、説明文書に盛り込むべき項目を整理し、AMED 文案を作成しました。AMED 文案は、関連法令及び倫理指針に則って、法律の専門家、生命倫理の専門家が含まれる AMED の「データ利活用に関する検討会」において作成され、「健康・医療戦略」（令和2年3月27日閣議決定）に基づき開催される、「健康・医療データ利活用基盤協議会」における議論を経たものです。以下の URL より AMED 文案をダウンロードし、AMED 文案を使用する際には、AMED 説明文書用モデル文案ユーザズガイドを必ず参照してください。

「データの第三者提供と利活用を円滑・適正に進めるための文書」

[https://www.amed.go.jp/koubo/data\\_sharing\\_template.html](https://www.amed.go.jp/koubo/data_sharing_template.html)

## 2.2 公募対象となる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3章 応募要件

### 3.1 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つては、研究開発代表者として採択された場合、契約締結日までに、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であれば応募できます。ただし、契約締結日までに要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、代表研究機関及び分担研究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。なお、分担研究機関については、研究開発分担者の主たる研究場所となるものであり、国内の研究機関等であることが原則です。海外で研究活動をする場合には、内容について AMED と契約時に必要な条件に適するか確認が必要になります。分担研究機関は、代表研究機関と再委託研究開発契約を締結します。

所属する研究機関等と主たる研究場所が異なる場合は、別途御相談ください。

（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<sup>※1</sup>（研究開発代表者が教育職、研究職、医療職<sup>※2</sup>、福祉職<sup>※2</sup>、指定職<sup>※2</sup>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<sup>※3</sup>

（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

（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）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<sup>※4</sup>

（H）その他 AMED 理事長が適当と認めるもの

※1 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。

※2 病院又は研究を行う機関に所属する者に限ります。

※3 地方公共団体の附属試験研究機関等

※4 技術研究組合法（昭和36年法律第81号）に基づく技術研究組合

（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。）及び研究開発データの取扱いに対して、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するとともに、追跡調査等 AMED の求めに応じて協力すること。

## 3.2 応募に当たっての留意事項

### 3.2.1 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→成果報告・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。提案書類は e-Rad から提出いただきます。詳細は、第4章を参照してください。

### 3.2.2 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。委託研究契約の締結においては、AMED 研究開発課題管理支援ツール（A-POST）をご利用頂く場合があります。A-POST は委託研究契約の締結に必要な研究計画書等の各種様式や研究実施後の実績報告等の各種様式を AMED と研究機関とで共有・連携するためのオンラインシステムです。本システムの利用に際しては研究機関毎に利用登録が必要となります。

### 3.2.3 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<sup>※</sup>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。

貨物の輸出だけで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）（特定類型<sup>※</sup>に該当する居住者を含む。）に提供する場合等や、外国において提供する場合には、その提供に際して事前の許可が必要です。技術提供には、設計図・仕様書・マニュアル・試料・試作品等の技術情報を、紙・メール・CD・DVD・USB メモリ等の記憶媒体で提供する事はもちろんのこと、技術指導や技能訓練等を通じた作業知識の提供やセミナーでの技術支援等も含まれます。外国からの留学生の受入れや、共同研究等の活動の中にも、外為法の規制対象となり得る技術のやりとりが多く含まれる場合があります。

※ 非居住者の影響を強く受けている居住者の類型のことを言い、「外国為替及び外国貿易法第25条第1項及び外国為替令第17条第2項の規定に基づき許可を要する技術を提供する取引又は行為について」1.(3)サ①～③に規定する特定類型を指します。

また、外為法に基づき、リスト規制貨物の輸出又はリスト規制技術の外国への提供を業として行う場合には、安全保障貿易管理の体制構築を行う必要があります<sup>※</sup>。このため、契約締結時までに、本事業により外為法の輸出規制に当たる貨物・技術の輸出が予定されているか否かの確認及び、輸出の意思がある場合は、管理体制の有無について確認を行う場合があります。輸出の意思がある場合で、管理体制が無い場合は、輸出又は本事業終了のいずれか早い方までの体制整備を求めます。なお、同確認状況については、経済産業省の求めに応じて、経済産業省に報告する場合があります。また、本事業を通じて取得した技術等について外為法に係る規制違反が判明した場合には、契約の全部又は一部を解除する場合があります。

※ 輸出者等は外為法第55条の10第1項に規定する「輸出者等遵守基準」を遵守する義務があります。また、ここでの安全保障貿易管理体制とは、「輸出者等遵守基準」にある管理体制を基本とし、リスト規制貨物の輸出又はリスト規制技術の外国への提供を適切に行うことで未然に不正輸出等を防ぐための、組織の内部管理体制を言います。

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/ampo/>

（Q&A <https://www.meti.go.jp/policy/ampo/qanda.html>）

○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ダンス（大学・研究機関用）

[https://www.meti.go.jp/policy/ampo/law\\_document/tutatu/t07sonota/t07sonota\\_jishukanri03.pdf](https://www.meti.go.jp/policy/ampo/law_document/tutatu/t07sonota/t07sonota_jishukanri03.pdf)

○大学・研究機関のためのモデル安全保障貿易輸出規程マニュアル

<https://www.meti.go.jp/policy/ampo/daigaku/manual.pdf>

○一般財団法人安全保障貿易管理センターモデルCP（企業向け）

<https://www.cistec.or.jp/export/jisyukanri/modelcp/modelcp.html>

○安全保障貿易ガイダンス（入門編）

<https://www.meti.go.jp/policy/ampo/guidance.html>

### 3.2.4 国際連合安全保障理事会決議第 2321 号の厳格な実施について

平成 28 年 9 月の北朝鮮による核実験の実施及び累次の弾道ミサイル発射を受け、平成 28 年 11 月 30 日（ニューヨーク現地時間）、国連安全保障理事会（以下「安保理」という。）は、北朝鮮に対する制裁措置を大幅に追加・強化する安保理決議第 2321 号を採択しました。これに関し、平成 29 年 2 月 17 日付けで 28 受文科際第 98 号「国際連合安全保障理事会決議第 2321 号の厳格な実施について（依頼）」が文部科学省より関係機関宛に発出されています。

同決議主文 11 の「科学技術協力」には、外為法で規制される技術に限らず、医療交流目的を除くすべての協力が含まれており、研究機関が当該委託研究を含む各種研究活動を行うにあたっては、本決議の厳格な実施に留意することが重要です。

安保理決議第 2321 号については、以下を参照してください。

○ 外務省：国際連合安全保障理事会決議第 2321 号 和訳

（外務省告示第 463 号（平成 28 年 12 月 9 日発行））

<https://www.mofa.go.jp/mofaj/files/000211409.pdf>

### 3.2.5 男女共同参画等に関する取組の促進について

「科学技術・イノベーション基本計画（令和 3 年 3 月 26 日閣議決定）」、「男女共同参画基本計画（令和 2 年 12 月 25 日閣議決定）」、「Society5.0 の実現に向けた教育・人材育成に関する政策パッケージ（令和 4 年 6 月 2 日総合科学技術・イノベーション会議決定）」、「男女共同参画や人材育成の視点に立った競争的研究費制度の整備に係る共通指針について（令和 5 年 2 月 8 日競争的研究費に関する関係府省連絡会申し合わせ）」において、出産・育児・介護等のライフイベントが生じても男女双方の研究活動を継続しやすい研究環境の整備や、優秀な女性研究者のプロジェクト責任者への登用の促進等を図ることとしています。

これらを踏まえ、AMED では、研究代表者がライフイベント<sup>※</sup>により研究から一時的に離脱せざるを得ない場合又は研究に専念できる時間が短くなる場合に、当該研究者の代行者等により、研究を継続できるよう配慮・支援をします。

なお、本支援の適用にあたっての不明点は、本事業担当課までお問い合わせ下さい。

※ 対象となるライフイベント

出産：産前 6 週間（多胎妊娠の場合は 1 4 週間）及び産後 8 週間

育児：子が 3 歳に達するまでの期間

介護：6 ヶ月の期間内において必要と認められる期間（必要に応じて延長することができます。）

### 3.2.6 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。

AMED における「若手研究者」とは、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（例：研究に専念できない期間が 17 ヶ月 14 日の場合は 18 ヶ月の延長となります。)) 加算することができます。

なお、採択後は必要に応じて、出産・育児又は介護の事実及び研究に専念できない期間を証明する関係書類を提出していただく場合があります。

さらに、本事業は、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、研究開発代表者が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ます。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。

### 3.2.7 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、研究機関等に対しデータマネジメントプラン（以下「DMP」という。）の提出を義務づけるとともに、研究開発データの定義や取扱い等に関するポリシー「AMED における研究開発データの取扱いに関する基本方針」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」<sup>※</sup>を策定し、AMED ウェブサイトで公開しています。なお、DMP 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 との委託研究開発契約においては、研究機関等が AMED からの支援（委託又は補助）を受けて行う研究開発に関連して創出、取得又は収集す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、AMED の上記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、原則として、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」<sup>※</sup>を参照してください。

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

AMED では、AMED が支援する研究開発から得られたデータの利活用を推進するために、AMED データ利活用プラットフォーム（以下「プラットフォーム」という。）の整備を進めています。

※ [https://www.kantei.go.jp/jp/singi/kenkouiryuu/data\\_rikatsuyou/dai2/siryuu2.pdf](https://www.kantei.go.jp/jp/singi/kenkouiryuu/data_rikatsuyou/dai2/siryuu2.pdf)

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ついては、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、さらには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を目的として、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同等のゲノム解析プロトコルを用いて生成したシーケンスデータであることを求めます。

そのため、研究開発計画においてヒトの全ゲノムシーケンス解析<sup>※1</sup>を実施するにあたっては、その解析に用いるプロトコル情報の提出を必須とします<sup>※2</sup>。

ヒト全ゲノムシーケンス解析のプロトコルについては、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

さらに、AMED 研究開発で行うヒトの全ゲノムシーケンス解析は、外部機関等に解析を業務委託するか否かにかかわらず、当該ゲノムシーケンス解析に用いる検体、当該ゲノムシーケンス解析結果（FASTQ 生配列データ及び VCF データを取得するまでの過程で生成されるデータを含む）のいずれについても、以下の場合を除き、国外に持ち出すことはできません（注2）。

- ・ヒトの全ゲノムシーケンス解析結果やその考察から得られた知見の学術誌への論文発表、学会発表等
- ・国際共同研究や企業の利活用等、正当な理由があるものとして個別に研究者が AMED に協議し、AMED が関係省庁と協議の上で例外として認める場合

なお、「AMED 研究データ利活用に係るガイドライン」及び「委託研究開発契約書」に基づき、データマネジメントプランを見直し又は改訂する場合には、AMED の承認を受けることが必要です。

#### ※1 全ゲノムシーケンス解析

- ・ここでは、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。
- ・生体試料から VCF データを得るまでのプロセスを指します。

※2 厚生労働省の新興・再興感染症データバンク事業ナショナル・リポジトリ（REBIND）におけるヒトの全ゲノムシーケンス解析の取扱いについては、事業方針に従います。

【参考】ゲノム医療実現のための データシェアリングポリシーについて

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

【特に留意すべき点】

- AMED は、政府の方針<sup>※1</sup>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ズ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。
- 全ゲノムシーケンズデータの大規模解析には、個別のデータの解析プロトコ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ズデータには、政府の方針<sup>※1</sup>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

※1 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）

<https://www.mhlw.go.jp/content/10901000/000739542.pdf>

※2 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）

[https://www.kantei.go.jp/jp/singi/kenkouiryou/genome/genome\\_dai8/siryou3.pdf](https://www.kantei.go.jp/jp/singi/kenkouiryou/genome/genome_dai8/siryou3.pdf)

[https://www.kantei.go.jp/jp/singi/kenkouiryou/genome/genome\\_dai8/sankou3.pdf](https://www.kantei.go.jp/jp/singi/kenkouiryou/genome/genome_dai8/sankou3.pdf)

- 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ズとは、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、
- 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。
- AMED はこの目的を達成するため、全ゲノムシーケンズ解析<sup>※3</sup>のプロトコルについて、以下の5つの要件を満たしているかどうかを、確認しています。
  - ライブラリー作成（キット名、断片長等）
  - シーケンズ反応（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

※3 全ゲノムシーケンズ解析

次世代シーケンサーを利用した全ゲノムシーケンズ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ズ解析は含みません。

- ヒト全ゲノムシーケンズ解析を実施する研究課題は、所定の様式<sup>※3</sup>を提出することにより、解析プロトコ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ズ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。

※3 ヒト全ゲノムシーケンス解析プロトコル様式（第4章を参照）

### 3.2.8 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、新た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<sup>※</sup>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。

#### (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、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。

各モダリティのチェックリスト<sup>※</sup>を参照しながら作成をしてください。

※ <https://www.amed.go.jp/content/000071107.pdf>

[https://www.amed.go.jp/koubo/saisei\\_check.html](https://www.amed.go.jp/koubo/saisei_check.html)

<https://www.amed.go.jp/content/000041779.pdf>

#### (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ーンが明記されている必要があります。また、研究開発提案時点で、治験又は臨床試験実施計画書が完成されていない場合においても、プロトコルコンセプト<sup>※</sup>は必須です。

※ 治験又は臨床試験実施のための計画が研究者や研究組織内でのコンセプトの段階においては、完成された治験又は臨床試験実施計画書の提出が難しい場合もあります。その場合には、以下の項目を含むプロトコルコンセプトを提出していただきます。プロトコルコンセプトについては、目的（主要評価項目を含むこと）、背景及び試験計画の根拠（対象、対象に対する標準治療、治療計画設定の根拠）、患者選択基準、効果判定と判定基準、統計的事項（主たる解析と判断基準、目標症例数の算定／設定根拠、登録期間・追跡期間）、研究実施体制に関する記載をしてください。

#### (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、GCP 省令（「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））に基づき実施する必要があります。実施にあたっては、GCP ガイダンス（令和3年7月30日付け薬生薬審発 0730 第3号）を御参照ください。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、採択条件として、治験を開始するごとに、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となります。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まれます。

※ 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 23 年 6 月 30 日制定）「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まれます。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。

研究開発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。

#### （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の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を把握するとともに、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、保険外併用療養費制度について

臨床研究の実施に当たっては、臨床研究法に基づき、厚生労働大臣に対して実施計画を提出する必要があります。実施計画の提出や公開は、jRCT（Japan Registry of Clinical Trials：臨床研究実施計画・研究概要公開システム）により行うこととなります。そこで、臨床研究を実施する研究開発提案については、jRCT への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。

また、実施する臨床研究が先進医療に該当する場合は、評価療養として、研究部分以外について保険外併用療養費として医療保険の給付が認められますが、先進医療として行う予定がない場合には、当該期間の医療費全体が保険外となります。この点について、研究開発提案時点における先進医療への申請予定や、その有無に応じた必要費用の検討状況を提案書に明記してください。なお、先進医療の申請予定そのものは課題採択時の審査の対象になりませんが、それぞれに応じて必要な費用を適切に検討しておく必要があります。先進医療、保険外併用療養費制度については、厚生労働省のウェブサイト<sup>※</sup>を参照してください。

※先進医療の概要について（厚生労働省ウェブサイト）

[https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/kenkou\\_iryuu/iryuuhoken/sensiniryuu/index.html](https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/kenkou_iryuu/iryuuhoken/sensiniryuu/index.html)

※保険外併用療養費制度について（厚生労働省ウェブサイト）

<https://www.mhlw.go.jp/content/12400000/000921208.pdf>

その他、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<sup>※</sup>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 4 章 提案書類の作成・提出

### 4.1 提案書類の作成

#### 4.1.1 応募に必要な提案書類

第 1 5 章公募研究開発課題を参照してください。

#### 4.1.2 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://www.amed.go.jp/koubo/>

#### 4.1.3 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。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、代表研究機関（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られることがあります。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、あらかじめ御了承ください。

##### (5) 対象外となる提案について

以下のような提案は本事業の対象外です。

(A) 単に既製の設備・備品の購入を目的とする提案

(B) 本研究課題に使用しない設備・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

(C) 対象疾患が、「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 要件を満たさない疾病

(D) 「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

(6) ヒト全ゲノムシーケンス解析プロトコルの提出について

ヒト全ゲノムシーケンス解析（第3章「3.2.7 データシェアリングについて」参照）を実施する研究課題においては、所定の様式を提出することにより当該プロトコルの各項目を示す必要があります。該当課題において様式提出がない場合には「不受理」となり、審査の対象となりません。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、十分注意して御判断ください。

また、所定様式が提出されている場合であっても、第3章「3.2.7 データシェアリングについて」の条件を満たさない研究開発課題は、「不採択」となります。

## 4.2 研究開発提案書以外に必要な提出書類等について

(1) ヒト全ゲノムシーケンス解析プロトコル様式

ヒト全ゲノムシーケンス解析を実施する場合、ヒト全ゲノムシーケンス解析プロトコル様式の提出が必須になります。シーケンスデータやプロトコル情報の詳細については、第3章の応募要件の記載を参照してください。

(2) PMDA の対面助言の記録等

独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）が実施する「レギュラトリーサイエンス戦略相談」等の相談業務のうち、対面助言を実施済みの場合は、対面助言記録及び別紙（相談内容）を添付してください。

なお、対面助言を実施していなくとも、対面助言の日程が決まっている場合は、提案書に「予定する対面助言の日程」を記載してください。（PMDA は事前面談の記録を作成しないため、事前面談の実施の有無の記載やアカデミア側が作成した事前面談の議事録や要旨の添付はしないでください。）

(注) 実用化段階に移行する研究開発課題（「レギュラトリーサイエンス戦略相談」等、PMDA の相談業務の対象範囲となる研究開発課題）においては、その採択条件として、治験を開始するごとに、あらかじめ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となります。応募時点で対面助言を実施済みであることは必須ではありませんが、対面助言を受け、その相談結果を研究開発計画に反映させていることが望まれます。

(3) 臨床試験に関する資料等

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研究<sup>※1</sup>では、治験計画書やプロトコル<sup>※2</sup>（目的、対象、選択基準、除外基準、症例数、観察内容、介入内容、統計的手法、研究体制等の情報を含む。）等の臨床試験に関する資料等（様式自由:応募時点で未実施の場合は案で可）を添付していただきます。

※1 新しい医薬品や医療機器等創出を目的としていない研究や新しい医療技術の評価、通常の承認プロセスと異なるものは対象外とします。

※2 プロトコル作成に当たっては、以下を適宜参考にしてください。（例示のため、全ての臨床研究を網羅するものではありません。）

・（公財）神戸医療産業都市推進機構 医療イノベーション推進センター（新治験計画届作成システム）

<https://www.tri-kobe.org/ctn/>

- ・日本医師会倫理審査委員会（後向き研究観察研究計画書\_例）

[https://www.med.or.jp/dl-med/doctor/s\\_sien/rei\\_keikakusyo.doc](https://www.med.or.jp/dl-med/doctor/s_sien/rei_keikakusyo.doc)

- ・（公財）神戸医療産業都市推進機構 医療イノベーション推進センター（医師主導治験実施計画書作成要領〈ランダム化比較臨床試験〉）

[https://www2.tri-kobe.org/support/download/protocol\\_summary2.pdf](https://www2.tri-kobe.org/support/download/protocol_summary2.pdf)

#### （４）動物実験に関する自己点検・評価結果

研究機関等における動物実験等の実施に関する基本指針（平成 18 年文部科学省告示第 71 号）又は厚生労働省の所管する実施機関における動物実験等の実施に関する基本指針（平成 18 年 6 月 1 日厚生労働省大臣官房厚生科学課長通知、平成 27 年 2 月 20 日一部改正）に定められた動物種を用いて動物実験を実施する機関については、本基本指針に基づき、機関自らが実施した本基本指針への適合性に関する自己点検・評価結果のうち、直近で実施したものの写しの提出を求めることがあります。



### 4.3 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、受付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、期限内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、受付期間終了時刻まで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 ポータルサイト ([https://www.e-rad.go.jp/manual/for\\_researcher.html](https://www.e-rad.go.jp/manual/for_researcher.html)) の研究者用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。

#### ●注意事項

- (1) e-Rad の利用可能時間帯は、平日、休日ともに 24 時間となりますが、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。
- (2) 提案書類のファイルは、PDF 形式でのアップロードをお願いいたします。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。
- (3) e-Rad への入力情報と PDF 形式で提出する提案書の内容は一致させてください。
- (4) アップロードできる 1 ファイル当たりの最大容量については、e-Rad ウェブサイトの記載に従ってください。

#### 4.3.1 e-Rad での提出状況の確認

提案書類の受理確認は、e-Rad の「提出済の課題」>「課題一覧」画面から行うことができます。受付期間終了時点で、申請の種類(ステータス)の表示が「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。受付期間終了時までに応募課題の状態が「応募中」、申請の種類(ステータス)が「配分機関処理中 申請中」となれば、当該応募は正常に完了しています。

受付期間中に、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「 <b>研究機関処理中申請中</b> 」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を必ず行ってください。)
② 研究機関の承認の手続が完了後	申請の種類(ステータス)が「 <b>配分機関処理中申請中</b> 」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「 <b>受理済</b> 」となります。

#### 4.3.2 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（企業の場合を含む）を經由して応募する場合、「代表研究機関」、「分担研究機関」は、原則として応募時までに e-Rad に登録されていることが必要となります。研究機関の登録方法については、e-Rad ポータルサイトを参照してください。

研究機関で 1 名、e-Rad に関する事務代表者を決めていただき、「研究機関の登録申請」(<https://www.e-rad.go.jp/organ/entry.html>) から手続を行ってください。

※登録まで日数を要する場合があります。2 週間以上の余裕をもって手続をしてください。

※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い合わせください。

## (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事務代表者が登録します。事務代表者は、(1)により入手した ID、パスワードで e-Rad にログインし、部局情報、事務分担者（設ける場合）、職情報、研究者情報を登録し、事務分担者用及び研究者用の ID、パスワードを発行します。

登録方法は、ポータルサイト ([https://www.e-rad.go.jp/manual/for\\_organ.html](https://www.e-rad.go.jp/manual/for_organ.html)) 研究機関事務代表者用マニュアル「10.研究機関手続き編」「11.研究機関事務分担者手続き編」「12.研究者手続き編」を参照してください。

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、e-Rad ポータルサイトから登録申請してください。必要な手続は「(研究者向け) 新規登録の方法」(<https://www.e-rad.go.jp/researcher/index.html>) を参照してください。

※登録まで日数を要する場合があります。2 週間以上の余裕をもって手続をしてください。

### 4.3.3 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 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、お問い合わせください。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。

## 4.4 研究費の不合理な重複及び過度の集中の排除

### 4.4.1 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内容の課題に対して、複数の競争的研究費その他の研究費（国外も含め、補助金や助成金、共同研究費、受託研究費等、現在の全ての研究費であって個別の研究内容に対して配分されるもの<sup>\*</sup>。）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、その程度に応じ、研究開発課題の不採択、採択取消し又は減額配分（以下「研究開発課題の不採択等」という。）を行います。なお、本事業への応募段階において、他の競争的研究費その他の研究費への応募を制限するものではありませんが、他の競争的研究費その他の研究費に採択さ

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。本事業への提案時も含め、これら報告に漏れがあった場合、本事業において、研究開発課題の不採択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、複数の競争的研究費その他の研究費に対して同時に応募があり、重複して採択された場合

※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。

(B) 既に採択され、配分済の競争的研究費その他の研究費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) 既に採択された複数の研究開発課題の間で、重複が判明した場合

(D) その他これに準ずる場合

※所属する機関内において配分されるような基盤的経費又は内部資金、商法で定める商行為及び直接又は間接金融による資金調達を除く。

#### 4.4.2 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、他の競争的研究費その他の研究費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、同一の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ほどの状態であって、以下のいずれかに該当する場合には、本事業において、その程度に応じ、研究開発課題の不採択等を行います。

このため、本事業への提案書類の提出後に、他の競争的研究費その他の研究費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、研究開発課題の不採択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<sup>※</sup>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・医療活動や管理業務等を含めた実質的な全仕事時間を指します。

#### 4.4.3 不合理な重複及び過度の集中の排除の方法

競争的研究費の不合理な重複及び過度の集中を排除し、研究活動に係る透明性を確保しつつ、エフォートを適切に確保できるかを確認するため、応募時に、以下の情報を提供していただきます。

(1) 現在の他府省含む他の競争的研究費その他の研究費の応募・受入状況、現在の全ての所属機関・役職に関する情報の提供

応募時に、研究開発代表者・研究開発分担者等について、e-Rad に記載のある現在の他府省を含む他の競争的研究費その他の研究費の応募・受入状況（制度名、研究課題、実施期間、予算額、エフォート等）（以下「研究費に関する情報」という。）や、現在の全ての所属機関・役職（兼業や、外国の人材登用プログラムへの参加、雇用契約のない名誉教授等を含む。）に関する情報

(以下「所属機関・役職に関する情報」という。)を応募書類にも記載してください。応募書類や e-Rad 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等とすることがあります。

研究費に関する情報のうち秘密保持契約等が交わされている共同研究等に関する情報については、産学連携等の活動が委縮しないように、個別の事情に配慮して以下の通り扱います。

- ・応募された研究開発課題が研究費の不合理な重複や過度の集中にならず、研究開発課題の遂行に係るエフォートを適切に確保できるかどうかを確認するために必要な情報のみ(原則として共同研究等の相手機関名と受入れ研究費金額及びエフォートに係る情報のみ)の提出を求めます。
- ・ただし、既に締結済の秘密保持契約等の内容に基づき提出が困難な場合など、やむを得ない事情により提出が難しい場合は、相手機関名と受入れ研究費金額は記入せずに提出いただくことが可能です。なお、その場合においても、必要に応じて所属機関に照会を行うことがあります。
- ・所属機関に加えて、配分機関や関係府省間で情報が共有される場合もありますが、その際も守秘義務を負っている者のみで共有されます。

なお、今後秘密保持契約等を締結する際は、競争的研究費の応募時に、必要な情報に限り提出することがあることを前提とした内容とすることを検討していただきますようお願いいたします。ただし、秘匿すべき情報の範囲とその正当な理由(企業戦略上著しく重要であり、秘匿性が特に高い情報であると考えられる場合等)について契約当事者双方が合意すれば、当該秘匿情報の提出を前提としない契約とすることも可能であることに御留意ください。

#### (2) その他、自身が関与する全ての研究活動に係る透明性確保のために必要な情報の提供

研究費に関する情報や、所属機関・役職に関する情報に加えて、寄附金等や資金以外の施設・設備等の支援<sup>\*</sup>を含む、自身が関与する全ての研究活動に係る透明性確保のために必要な情報について、関係規程等に基づき所属機関に適切に報告している旨の誓約を求めます。誓約に反し適切な報告が行われていないことが判明した場合は、研究開発課題の不採択等とすることがあります。

応募の研究開発課題に使用しないが、別に従事する研究で使用している施設・設備等の受入状況に関する情報については、不合理な重複や過度な集中にならず、研究開発課題が十分に遂行できるかを確認する観点から、誓約に加えて、所属機関に対して、当該情報の把握・管理の状況について提出を求めることがあります。

<sup>\*</sup> 無償で研究施設・設備・機器等の物品の提供や役務提供を受ける場合を含む。

#### 4.4.4 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の共有

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、応募内容の一部に関する情報を、e-Rad などを通じて、機構内及び他府省の他の競争的研究費制度の担当課間で共有します。

#### 4.5 研究活動の国際化、オープン化に伴う新たなリスクに対する研究インテグリティの確保

我が国の科学技術・イノベーション創出の振興のためには、オープンサイエンスを大原則とし、多様なパートナーとの国際共同研究を今後とも強力に推進していく必要があります。同時に、近年、研究活動の国際化、オープン化に伴う新たなリスクにより、開放性、透明性といった研究環境の基盤となる価値が損なわれる懸念や研究者が意図せず利益相反・責務相反に陥る危険性が指摘されており、こうした中、我が国として国際的に信頼性のある研究環境を構築することが、研究環境の基盤となる価値を守りつつ、必要な国際協力及び国際交流を進めていくために不可欠となっています。

そのため、大学・研究機関等においては、「研究活動の国際化、オープン化に伴う新たなリスクに対する研究インテグリティの確保に係る対応方針について（令和3年4月27日 統合イノベーション戦略推進会議決定）」を踏まえ、利益相反・責務相反をはじめ、関係の規程及び管理体制を整備し、研究者及び大学・研究機関等における研究の健全性・公正性（研究インテグリティ）を自律的に確保していただくことが重要です。

かかる観点から、競争的研究費の不合理な重複及び過度の集中を排除し、研究活動に係る透明性を確保しつつ、エフォートを適切に確保できるかを確認しておりますが、それに加え、所属機関としての規程の整備状況及び情報の把握・管理の状況について、必要に応じて所属機関に照会を行うことがあります。

## 第5章 審査

### 5.1 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、注意事項（1）～（9）に留意してください。）	
提案書類受付期間	令和5年11月10日（金）～ 令和5年12月7日（木）【12：00】（厳守）
書面審査	令和5年12月中旬～令和6年1月上旬（予定）
ヒアリング審査	令和6年1月26日（金）～令和6年2月6日（火）（予定）
採択可否の通知	令和6年3月上旬（予定）
研究開発開始（契約締結等）日	令和6年4月上旬（予定）

#### ●注意事項

- （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。
- （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。
- （3）ヒト全ゲノムシーケンス解析を実施する場合で、ヒト全ゲノムシーケンス解析プロトコル様式の提出がない場合は、不受理とします。
- （4）選考期間を通じ、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）。
- （5）ヒアリング審査は Web 等による実施の場合があります。
- （6）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、原則としてヒアリング審査の1週間前までに電子メールにて御連絡します（ヒアリング審査の対象外の場合や、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）。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4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、御参照ください。ヒアリング審査の対象か否かに関する個別回答は行いません。
- （7）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。ヒアリング審査の日程は変更できません。
- （8）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、ヒアリング審査の方法を変更したり、中止したりする場合があります。また、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。
- （9）「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しく、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御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。

## 5.2 提案書類の審査方法

### 5.2.1 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確認し、予算等の配分的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、定められた審査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。

#### ●注意事項

- (1) 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。
- (2) 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。
- (3) 採択に当たっては、審査結果等を踏まえ、研究開発代表者に対して、目標や実施計画、実施体制等の修正を求めることや、経費の額の変更を伴う採択条件を付すことがあります。これらの場合においては、計画等の妥当性について、再度検討を行う可能性があります。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。
- (4) 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。
- (5) 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ずることを趣旨とする秘密保持遵守義務が課せられています。
- (6) 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。）
- (7) 公正で透明性の高い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あります。
  - ① 被評価者が家族であるとき
  - ② 被評価者が大学、国立研究開発法人、国立試験研究機関等の研究機関において同一の学科等又は同一の企業に所属している者であるとき
  - ③ 被評価者が課題評価委員会の開催日の属する年度を含む過去 3 年度以内に緊密な共同研究を行った者であるとき
  - ④ 被評価者が博士論文の指導を受ける等、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
- 9 その他深刻な利益相反があると認められるとき
- (8) 応募しようとする者、応募した者は、AMED 役職員、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うことは禁止します。

- (9) 研究管理の適切性を確認する観点から、医薬品<sup>※1</sup>、再生医療等<sup>※2</sup>及び医療機器<sup>※3</sup>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](https://www.amed.go.jp/koubo/iyakuhin_check.html)

※2 [https://www.amed.go.jp/koubo/saisei\\_check.html](https://www.amed.go.jp/koubo/saisei_check.html)

※3 [https://www.amed.go.jp/koubo/medical\\_device\\_check.html](https://www.amed.go.jp/koubo/medical_device_check.html)

- (10) 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活用し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。

- (11) 形式審査を実施し、不採択とする場合があります。

## 5.2.2 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。分担研究機関を設定した研究開発課題を提案する場合は、研究開発を遂行する上での分担研究機関の必要性と、分担研究機関における研究開発の遂行能力等も審査の対象となります。

### (A) 事業趣旨等との整合性

- ・事業趣旨、目標等に合致しているか(★)

### (B) 科学的・技術的な意義及び優位性

- ・現在の技術レベル及びこれまでの実績は十分にあるか
- ・独創性、新規性、革新性を有しているか
- ・医療分野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
- ・社会的ニーズに対応するものであるか
- ・医療分野の研究開発に関する国の方針に合致するものであるか

### (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
- ・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



- ・「希少難治性疾患に対する画期的な医療機器の実用化に関する研究分野」では下記(1)～(4)が適当であるか
  - (1)医療ニーズが市場性（普遍性）を有しているか（医療ニーズとして市場性が小さい場合、本事業は実用化への見込みが高い研究を重点的に支援することを踏まえ、市場性以外で実用化の見込みが高い性質を有しているか）
  - (2)開発機器は競争優位性を有しているか、競争戦略が明確か
  - (3)出口戦略が明確か
  - (4)実用化プログラム活用について研究開発代表者への案内候補として適当か
- ・「希少難治性疾患研究や薬事申請へのリアルワールドデータ利活用に資する情報基盤活用研究」、「希少・未診断疾患に対する診断プログラム基盤の利活用を通じた患者還元を推進する研究」ではデータマネジメントプラン（DMP）の妥当性があるか
- ・「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
  - （注）（★）を付した項目については、委員会としての評価結果の決定に参加する委員の半数以上が「不適」と判断した場合に、不採択とします。

### 5.3 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。

## 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12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機関の権利利益を不当に侵害することがないように、当該情報の利用目的は上記業務に限定します。

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、法人文書管理、個人情報保護及び情報公開に関連する法令並びにAMED例規等の定めにより適切に管理し、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ことがないように、提案書類等に含まれる情報に関する秘密を厳守します。詳しくは以下のウェブサイト<sup>※</sup>を参照してください。

※「公文書管理制度」(内閣府)

<https://www8.cao.go.jp/chosei/koubun/index.html>

「個人情報保護法等」(個人情報保護委員会)

<https://www.ppc.go.jp/personalinfo/>

「情報公開制度」(総務省)

[https://www.soumu.go.jp/main\\_sosiki/gyoukan/kanri/jyohokokai/index.html](https://www.soumu.go.jp/main_sosiki/gyoukan/kanri/jyohokokai/index.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、参加者リストに記載される研究に関わる者の所属研究機関・役職・氏名、e-Rad 課題番号/研究者番号/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))<sup>※1</sup>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等(World RePORT<sup>※2</sup>等)から公開する場合があります。
- (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<sup>※3</sup>に掲載される場合があります。
- (C) 「第6期科学技術・イノベーション基本計画」(令和3年3月26日閣議決定)では、科学技術・イノベーション行政において、客観的な証拠に基づく政策立案を行うEBPM(Evidence Based Policy Making)を徹底することとしており、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。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研究費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研究費制度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、他の競争的研究費制度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」として取り扱います。

※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&メリング・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 採択後の留意点

### 7.1 採択の取消し等について

研究開発課題を実施する研究機関は、後述する「8.1.1 委託研究開発契約の締結にあたっての研究機関の責務」に記載のとおり、原則として、採択決定通知日から90日以内（契約締結期限）に、AMEDと委託研究開発契約を締結していただく必要があります。

そして、採択後であっても、次に掲げる採択取消事由のいずれかに該当する場合には、採択を取り消すことがあります。また、採択取消事由のいずれかに該当するにもかかわらず、それが事前に判明せず、契約締結に至った場合には、事後に契約の解除事由になりえます。

- (A) 契約締結期限までにAMEDが求める必要な書類が提出されない場合
- (B) 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
- (C) 公募の要件の不充足があった場合
- (D) 当該研究開発課題に参加予定の研究者について、研究開発期間中に申請・参加資格が制限されることが明らかである場合
- (E) 当該研究開発課題の研究開発代表者又は研究開発分担者として予定されている者の中に、不正行為等に関する本調査の対象となっている者が含まれており、その者の参加についてAMEDの了解を得ていない場合
- (F) 上記のほか、研究開発課題を実施する研究機関側の原因により、契約締結期限までに契約を締結できない場合（契約に定める表明保証又は遵守事項の違反がある場合を含む。）

### 7.2 不正行為等に係る表明保証について

代表研究機関は、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。

- (A) 本事業に参画する研究者等（再委託先を含む。）が、国又は独立行政法人等から競争的研究費等の申請・参加資格制限措置を課された者（不正行為等の認定等を受けたことにより当該措置が見込まれる者を含み、当該措置の期間が終了した者は除く。）ではないこと
- (B) 本事業に参画する研究者等（再委託先を含む。）が、国の不正行為等対応ガイドライン又はAMEDの不正行為等対応規則に基づく本調査の対象となっている場合は、当該内容をAMEDに通知済みであること及び当該内容について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及び関係する法令等<sup>※</sup>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

※「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ます。

### 7.3 契約締結の準備について

研究開発課題が採択された研究機関は、採択後、AMEDと委託研究開発契約を速やかに締結できるよう、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、採択後に別途御連絡します。

全体研究開発計画書（全研究期間）は、採択時の研究開発提案書を基に研究開発課題ごとに各一通作成いただきます。全実施期間の研究開発構想を中心に、基本計画、研究開発内容、研究開発体制、予算計画等を記載してください。（同計画書は、各年度における予算配分の検討及び中間・事後評価や課題進捗管理の基礎資料の一つとなります。）また、研究開発計画書（単年度）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) 全体研究開発計画書、研究開発計画書及びその他契約に必要な書類の作成

[https://www.amed.go.jp/keiri/youshiki\\_itaku.html](https://www.amed.go.jp/keiri/youshiki_itaku.html)

(B) 業務計画に必要な経費の見積書の取得（補助金の場合のみ）

(C) 会計規程、受託研究規程及び職務発明規程等（ない場合は、研究開発契約締結までに整備のこと）の整備

なお、企業規模が中小企業、スタートアップ企業、ベンチャー企業の場合については、以下の点を確認する必要があります。

- ・当該事業を適切に遂行するために必要な社内管理体制を有し、また、資金等の経営基盤を有しているか。
- ・本事業の終了後に、事業化が達成、促進する可能性が高いことを示す「具体的な計画(資金調達、実用化、市場性等)」や「予想されるリスク(市場変動、技術変革等)への対策」が検討されているか。

## 7.4 データマネジメントプラン（DMP）の提出

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 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、採択後に別途御連絡します。

### ●注意事項

- (1) 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一種の公の財産でもあり、AMED には、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。
- (2) AMED は、DMP 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、マネジメント機能等を強化し、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こととしています。
- (3) DMP は、どの研究開発課題で、どのよう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。
- (4) DMP 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。
- (5) 「AMED 研究データ利活用に係るガイドライン」、DMP 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、DMP 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、御参照ください。）
- (6) 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場合があります。なお、DMP の利活用についての詳細は第 10 章を参照してください。
- (7) 詳しくは以下を御確認ください。

## 7.5 研究開発タグ情報シートの提出

AMED では、研究開発タグを用いて各統合プロジェクトや疾患領域等における研究開発課題の研究目的、研究の性格、研究モダリティ、開発フェーズ、対象疾患（ICD10）、疾患領域（7分野）、特記的事項等を俯瞰的、経時的に把握することにより、事業の全体像を可視化するとともに、マネジメント機能等を強化し、異なる研究開発課題間での連携促進や今後の公募案の策定等のために役立てることとしています。このため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時及び補助事業の交付申請時に研究開発タグを AMED に提出していただきます。必要な書類（様式）については、採択後に別途御連絡します。

### ●注意事項

- (1) 研究開発タグは、どの研究開発課題で、どのような目的の、どのような性格を持った研究開発が、どのような開発フェーズにあるかを、対象疾患や疾患領域ごとに整理し、AMED の事業を統合プロジェクト（横軸）と疾患領域（縦軸）の観点から縦横に把握しようとするためのものです。
- (2) 研究開発タグは、エクセル表を使って、研究目的、研究の性格、研究モダリティ、開発フェーズ、対象疾患（ICD10）、疾患領域（7分野）、特記的事項、その他必要事項等を選択していただきます。
- (3) 研究開発タグの記載要領を遵守して記載してください。
- (4) 研究開発タグ項目の一部項目と記載情報を統計的に処理した公開可能な内容の情報については、他の課題情報とともに公開する場合があります。

## 第 8 章 契約の締結

### 8.1 委託研究開発契約の締結

#### 8.1.1 委託研究開発契約の締結にあたっての研究機関の責務

採択された研究開発課題について、研究開発課題を実施する研究機関は、AMED との間で委託研究開発契約を締結していただく必要があります。研究開発課題を実施する研究機関は、契約を締結することにより、AMED から委託研究開発費の支払を受け、採択された研究開発課題を実施することができるようになります。委託研究開発契約は、国の会計年度の原則に従い単年度契約です。契約に必要な書類等の契約手続の詳細は、採択後に AMED から御案内します。

委託研究開発契約は、原則として、採択決定通知日から 90 日以内（契約締結期限）に締結するものとします。7.1 に記載のとおり、契約締結期限までに必要書類の提出がない場合や、課題評価委員会、PS、PO 等の意見を踏まえて採択決定時に付された条件が満たされていない場合等には、採択された研究開発課題であっても契約は締結できず、採択決定が取り消されることがありますので、十分御留意ください。

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。）である代表研究機関又は分担研究機関については、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「代表研究機関」と「分担研究機関」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「分担研究機関」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 13 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等

### 8.2.1 委託研究開発費の範囲

本事業では競争的研究費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」※<sup>1</sup>を参照してください。

また、現在、「第 6 期科学技術・イノベーション基本計画」や「統合イノベーション戦略 2022」、「研究力強化・若手研究者支援総合パッケージ」を受け、競争的研究費に関する制度改善が進められています。このことも踏まえて、本事業においては、直接経費から研究開発代表者・研究開発分担者の人件費、研究開発代表者が所属研究機関において担っている業務のうち研究開発以外の業務の代行に係る経費（バイアウト経費）を支出することを可能としています。なお、バイアウト経費の上限は、直接経費 1,500 万円以下の研究課題においては直接経費の 20%、直接経費 1,500 万円を超える研究課題においては 300 万円とします（1,000 円未満の端数がある場合は、その端数は切り捨てるものとします）。尚、PS、PO の判断により減額される可能性があります。

	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、臨床研究等における被験者及び介助者に係る旅費
	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（研究開発代表者・研究開発分担者の人件費※ <sup>2</sup> を含む。） 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、ウェブサイト作成費用等）、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（試験・検査業務・動物飼育業務等で、外注して実施する役務に係る経費）、ライセンス料、研究開発代表者が所属研究機関において担っている業務のうち研究開発以外の業務の代行に係る経費（バイアウト経費）※ <sup>2</sup> 、不課税取引等に係る消費税相当額等
間接経費※ 3、※4	直接経費に対して一定比率（30%上限）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://www.amed.go.jp/keiri/index.html>



- ※ 2 研究開発代表者・研究開発分担者の人件費及びバイアウト経費を支出する場合に必要な要件や手続の詳細については、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」※<sup>1</sup>を参照してください。
- ※ 3 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、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、分担研究機関（国の施設等機関等に所属する研究者を除く。）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。
- ※ 4 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」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。

#### ●注意事項

- (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（例「治験又は臨床試験における受託研究取扱規程」（仮称））に基づき治験・臨床試験における症例登録等が行われる体制が研究機関に整備されていれば、症例登録等を研究機関の長から他の医療機関に対して一種の外注形式で依頼できるものとします。詳細は AMED ウェブサイト「研究費の運用」※<sup>2</sup>に掲載する「医師主導治験（研究者主導治験）又は臨床試験における医療機関経費の管理について」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、従来方式でも可とします。
- (2) 令和 3 年度で終了の電算資源（スーパーコンピュータ）の供用サービスに代わり、ゲノム医療実現バイオバンク利活用プログラム（B-Cure）（ゲノム医療実現推進プラットフォーム・大規模ゲノム解析に向けた基盤整備）にて整備されたスーパーコンピュータを一定の目的・条件の下で利用が可能です。詳しくはゲノム医療基盤研究開発課事務局のメールアドレス<genome-supercom"AT"amed.go.jp>（"AT"の部分を変えてください）宛てに御相談ください。

※ [https://www.amed.go.jp/program/kenkyu\\_unyo.html](https://www.amed.go.jp/program/kenkyu_unyo.html)

### 8.2.3 研究設備・機器の共用推進に係る事項

「研究成果の持続的創出に向けた競争的研究費改革について（中間取りまとめ）」（平成 27 年 6 月 24 日 文部科学省 競争的研究費改革に関する検討会）においては、そもそもの研究目的を十全に達成することを前提としつつ、汎用性が高く比較的大型の設備・機器は共用を原則とすることが適当であるとされています。

また、「第 6 期科学技術・イノベーション基本計画」（令和 3 年 3 月 26 日閣議決定）や「統合イノベーション戦略 2022」（令和 4 年 6 月 3 日閣議決定）において、研究機器・設備の整備・共用化促進や、組織的な研究設備の導入・更新・活用の仕組み（コアファシリティ化）の確立、共用方針の策定・公表等が求められています。

文部科学省においては、大学等における研究設備・機器の戦略的な整備・運用や共用の推進等を図るため、「研究設備・機器の共用推進に向けたガイドライン」を令和 4 年 3 月に策定しました。

これらを踏まえ、特に大学や国立研究開発法人等においては、本事業により購入する研究設備・機器のうち特に大型で汎用性のあるものについて、他の研究費における管理条件の範囲内において、所属機関・組織における共用システムに従い、研究開発課題の推進に支障ない範囲での共用、他の研究費等により購入された研究設備・機器の活用、複数の研究費の合算による購入・共用などに積極的に取り組んでください。その際、最新の研究設備・機器の活用による研究力強化のためにも、プロジェクト期間中でも共用化が可能であることを認識し、一層の共用化を検討することが重要です。なお、共用機器・設備としての管理と当該研究開発課題の研究目的の達成に向けた使用とのバランスを取る必要に留意してください。

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://www.amed.go.jp/keiri/youshiki\\_itaku.html](https://www.amed.go.jp/keiri/youshiki_itaku.html)

- 「研究成果の持続的創出に向けた競争的研究費改革について（中間取りまとめ）」

[文部科学省 競争的研究費改革に関する検討会（H27.6.24）]

[https://www.mext.go.jp/b\\_menu/shingi/chousa/shinkou/039/gaiyou/1359306.htm](https://www.mext.go.jp/b_menu/shingi/chousa/shinkou/039/gaiyou/1359306.htm)

- 「第6期科学技術・イノベーション基本計画」[閣議決定（R3.3.26）]

<https://www8.cao.go.jp/cstp/kihonkeikaku/6honbun.pdf>

- 「統合イノベーション戦略2022」[閣議決定（R4.6.3）]

[https://www8.cao.go.jp/cstp/tougosenryaku/togo2022\\_honbun.pdf](https://www8.cao.go.jp/cstp/tougosenryaku/togo2022_honbun.pdf)

- 「競争的研究費における各種事務手続き等に係る統一ルールについて」

[競争的研究費に関する関係府省連絡会申し合わせ（R5.5.24 改正）]

[https://www8.cao.go.jp/cstp/compefund/toitsu\\_rule\\_r50524.pdf](https://www8.cao.go.jp/cstp/compefund/toitsu_rule_r50524.pdf)

- 「複数の研究費制度による共用設備の購入について（合算使用）」

[資金配分機関及び所管関係府省申し合わせ（R2.9.10 改正）]

[https://www.mext.go.jp/content/20200910-mxt\\_sinkou02-100001873.pdf](https://www.mext.go.jp/content/20200910-mxt_sinkou02-100001873.pdf)

- 「研究設備・機器の共用推進に向けたガイドライン」（R4.3 策定）

[https://www.mext.go.jp/content/20220329-mxt\\_kibanken01-000021605\\_2.pdf](https://www.mext.go.jp/content/20220329-mxt_kibanken01-000021605_2.pdf)

【参考：概要版 YouTube】[https://youtu.be/x29hH7\\_uNQo](https://youtu.be/x29hH7_uNQo)

- 「大学連携研究設備ネットワーク」

<https://chem-eqnet.ims.ac.jp/>

- 「コアファシリティ構築支援プログラム」

<https://www.jst.go.jp/shincho/program/corefacility.html>

#### 8.2.4 委託研究開発費の支払

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://www.amed.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

「競争的研究費の間接経費の執行に係る共通指針」（令和 3 年 10 月 1 日改正、競争的研究費に関する関係府省連絡会申し合わせ）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。

## 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。

## 8.3 取得物品の取扱い

### 8.3.1 取得物品の帰属

大学等<sup>※1</sup>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、大学等に帰属するものとします。

企業等<sup>※2</sup>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 「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<sup>※</sup>は無償貸与し、耐用年数経過後に AMED による評価額にて有償で譲渡することとします。ただし、いずれも AMED が当該取得物品を使用し、又は処分する場合はこの限りではありません。

消耗品扱いとなる取得物品については、特に貸借契約等の手続を行いませんが、その使用が終了するまでは、善良なる管理者の注意をもって適正に管理してください。（転売して利益を得ることは認められません。）

※ 「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（実験手法も含む）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、研究の進捗状況を示す書類、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）等を通じて研究計画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、その採択条件として、治験を開始するごとに、あらかじめ 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となります。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<sup>※</sup>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。

※ 新しい医薬品や医療機器等の創出を目的としていない研究や新しい医療技術の評価、通常の承認プロセスと異なるものは対象外とします。

### 9.2 中間評価・事後評価等

本事業では、採択課題のうち 4 年を超える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評価します。また、4 年以下の研究開発期間を予定しているものも含め、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。

### 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。

#### **9.4 研究開発終了後の責務**

課題終了後一定の時間を経過した後に、追跡調査、追跡評価を実施することがあります。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アンケートやインタビュー等を依頼しますので、御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://www.amed.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ったこととなりますので、提出期限は厳守してください。また、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ありますので、あらかじめ留意してください。

上記のほか、研究開発課題終了時の最終的な成果報告書について、研究開発代表者が取りまとめの上、提出してください。同成果報告書における一部項目は公開情報となります。適切な時期に AMED ウェブサイトおよび AMEDfind 等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。

### 10.3 DMP（研究開発終了時の最新版）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、DMP（研究開発終了時の最新版）を提出していただきます。提出期限は上記委託研究開発成果報告書と同様です。

また、データシェアリングによる研究開発データの利活用という観点から、AMED からの支援（委託又は補助）を受けた研究開発に関連して創出、取得又は収集した研究開発データを利用したいと考える大学、企業その他の研究機関へ紹介する目的で、DMP（研究開発終了時の最新版）等の一部公開可能な箇所について、AMED ウェブサイト等にカタログとして公開する予定です。未公開の情報等については AMED 内で適切に管理し、必要に応じて研究開発代表者等へ詳細を確認、お問い合わせすることがあります。

### 10.4 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（通称「日本版バイ・ドール規定」）。「日本版バイ・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、事前に御相談ください。

## 10.5 研究開発成果の実用化に向けた措置

研究機関においては、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<sup>※</sup>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 に御相談ください。（詳細は第 14 章を参照してください。）

※ [https://www.amed.go.jp/chitekizaisan/chizai\\_policy.html](https://www.amed.go.jp/chitekizaisan/chizai_policy.html)

## 10.6 医療研究者・医療系学生向け知的財産教材

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・医療系学生向け知的財産教材を AMED ウェブサイト<sup>※</sup>で公開しています。研究を実施する前に、研究者等が知的財産教材を閲覧することを強く推奨しています。

※ [https://www.amed.go.jp/chitekizaisan/chizai\\_kyouzai.html](https://www.amed.go.jp/chitekizaisan/chizai_kyouzai.html)

## 10.7 研究開発成果のオープンアクセスの確保

AMED は、公的資金による研究データの管理・利活用の推進（「第 6 期科学技術・イノベーション基本計画」（令和 3 年 3 月 26 日閣議決定））に向けて、その具体的な「公的資金による研究データの管理・利活用に関する基本的な考え方」（統合イノベーション戦略推進会議（第 9 回）、令和 3 年 4 月 27 日）を踏まえ、全事業・課題から創出される研究データの管理・運営の在り方と、その第三者利活用に向けたガイドラインを整備し、ライフサイエンスに大きく寄与する「データシェアリング」体制の構築（AMED 研究開発データ利活用カタログ）を目指しています。各研究機関は、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。

## 10.8 データの取扱い

AMED は、医療分野における研究開発の発展のみならず、社会における新たな価値の創出等に資することを目的として、AMED との委託研究開発契約等に基づき実施される委託研究開発、補助事業その他 AMED が支援を行う事業によって創出、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（以下「研究開発データ」という。）の利活用を積極的に推進しています。

そのため、AMED は、研究開発データの種類、保存場所等、データの管理責任者、データシェアリングその他のデータ利活用の方針等を記載する DMP を委託研究開発契約等の締結時に提出することを義務化しています。

研究機関においては、AMED に提出する DMP に基づき研究開発データの保存・管理・公開又は共有を適切に実施してください。

詳しくは、以下を参照してください。

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



## 第 11 章 研究機関・研究者の責務等

### 11.1 法令・指針等の遵守

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・倫理指針等を遵守し、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。

適用を受ける法令・倫理指針等に基づき、研究開発計画の策定、倫理審査委員会等の承認、インフォームド・コンセント、利益相反管理、研究に係る資料・情報等の保管、個人情報保護等の必要な手続を適切に行ってください。特に、研究開発計画に研究対象者等の同意・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。

また、研究活動における不正行為（捏造、改ざん、盗用）、研究費の不正使用及び不正受給（以下「不正行為等」という。）等を防止する措置を講じることが求められます。

遵守すべき法令・倫理指針等に違反した場合は、法令に基づく処分・罰則の対象や倫理指針等に基づく指導の対象になるほか、本事業の一時停止や契約解除、採択の取消し等を行う場合があります。

（参考）主な関係法令・指針等

<主な法令>

- ・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）
- ・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）
- ・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）
- ・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 10 年法律第 114 号）
- ・ヒトに関するクローン技術等の規制に関する法律（平成 12 年法律第 146 号）
- ・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）
- ・遺伝子組換え生物等の使用等の規制による生物の多様性の確保に関する法律（平成 15 年法律第 97 号）

<主な指針等>

- ・人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針（令和 3 年文部科学省・厚生労働省・経済産業省告示第 1 号）
- ・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）
- ・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 細胞の使用に関する指針（平成 31 年文部科学省告示第 68 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 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）
- ・ヒト受精胚に遺伝情報改変技術等を用いる研究に関する倫理指針（平成 31 年文部科学省・厚生労働省告示第 3 号）
- ・研究機関等における動物実験等の実施に関する基本指針（平成 18 年文部科学省告示第 71 号）
- ・厚生労働省の所管する実施機関における動物実験等の実施に関する基本指針（平成 18 年 6 月 1 日厚生労働省大臣官房厚生科学課長通知、平成 27 年 2 月 20 日一部改正）
- ・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衡平な配分に関する指針（平成 29 年財務省・文部科学省・厚生労働省・農林水産省・経済産業省・環境省告示第 1 号）
- ・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）

#### <リンク先>

- ・厚生労働省 臨床研究法について  
<https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000163417.html>
- ・厚生労働省 再生医療について  
[https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/kenkou\\_iryuu/iryuu/saisei\\_iryuu/index.html](https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/kenkou_iryuu/iryuu/saisei_iryuu/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>
- ・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>

### 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、「競争的研究費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・履修管理

AMED は、公正な研究活動を推進するとともに不正行為等を防止するため、研究機関に対して、本事業に参画する研究者等への研究倫理教育の実施及びその履修管理を、研究者等に対して研究倫理教育プログラムの履修を義務付けています。

研究機関は、原則として、初年度の契約締結前までに研究者等（再委託先を含む。）に対して、以下のプログラム・教材により、研究倫理教育を履修させてください。ただし、初年度の契約締結前までに履修させることが困難な場合は、初年度の契約締結後速やかに履修させてください。

AMED は研究機関に対して研究倫理教育の履修管理状況の確認を求めることがあります。研究者等（再委託先を含む。）の研究倫理教育の履修が確認できない場合は、本事業を一時停止又は中止することがあります。

#### （１）履修プログラム・教材

##### a) 本事業に参加する研究者等

研究機関は、本事業に参加する研究者等（再委託先を含む。）に対し、初年度の契約締結前までに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（公正研究推進協会）
- ・「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

##### b) 臨床研究法における研究責任医師及び分担研究医師

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。

- ・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<sup>※1</sup>

※1 臨床研究中核病院研修実施予定は、以下のウェブサイトの「臨床研究中核病院について」の項目を確認してください。

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

- ・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）<sup>※2</sup>

※2 一般財団法人公正研究推進協会（APRIN）の提供する eラーニングプログラム(eAPRIN)、ICR 臨床研究入門等の一定の質が担保された eラーニングプログラムも該当し得るものとなります。

#### （２）履修状況の管理

研究機関等は、研究者等の研究倫理教育プログラムの履修状況を記録し、適切に保管してください（再委託先を含む。）。様式は、AMED ウェブサイトに掲載する「研究倫理教育プログラム履修状況」を利用してください。なお、各研究機関に同等の様式がある場合は、当該様式により管理いただいて差し支えありません。

#### （３）履修状況の報告

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、「研究倫理教育プログラム履修の結果について」を作成し、AMED に報告してください。研究者等の研究倫理教育プログラムの履修状況の報告方法及び報告先は、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」のページを確認してください。

・履修対象者	研究開発代表者、研究開発分担者及び研究開発参加者
・提出期限	採択初年度の契約締結日後 61 日以内
・管理様式（例）	「研究倫理教育プログラム履修状況」 (各研究機関に同等の様式がある場合は、当該様式による管理で可)
・報告様式	「研究倫理教育プログラム履修の結果について」
・ダウンロード	<a href="https://www.amed.go.jp/kenkyu_kousei/kyoiku_program.html">https://www.amed.go.jp/kenkyu_kousei/kyoiku_program.html</a>

#### 11.4 利益相反の管理

AMED は、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、研究機関に対して、研究開発課題に関わる研究者等の利益相反状態の適切な管理を義務付けています。

AMED は研究機関に対して利益相反の管理状況の報告を求めることがあります。その結果、研究者等（再委託先を含む。）の利益相反を適切に管理していないと判断した場合は、改善指導、研究資金の提供の打ち切り、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等を行うことがあります。

##### （1）研究者等の利益相反管理

研究機関等は、研究者等の利益相反の状況を記録し、適切に保管してください（再委託先を含む。）。様式は、AMED ウェブサイトに掲載する「令和○年度 利益相反管理状況」を利用してください。なお、各研究機関に同等の様式がある場合は、当該様式により管理いただいて差し支えありません。研究開発期間終了後から 5 年間保管してください。

##### （2）利益相反管理状況の報告

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、「利益相反管理の結果について」を作成し、提出してください。なお、報告方法及び報告先は、以下の AMED ウェブサイトの「研究公正」の「研究開発にあたっての利益相反管理」のページを確認してください。

・対象者	研究開発代表者、研究開発分担者、研究開発参加者
・提出期限	各年度終了後又は委託研究開発契約の終了後 61 日以内
・管理様式（例）	様式「令和○年度 利益相反管理状況」 (各研究機関に同等の様式がある場合は、当該様式による管理で可)
・報告様式	様式「令和○年度 利益相反管理の結果について」
・ダウンロード	<a href="https://www.amed.go.jp/kenkyu_kousei/riekisohan_kanri.html">https://www.amed.go.jp/kenkyu_kousei/riekisohan_kanri.html</a>

### **11.5 研究機関における規程・体制等の整備**

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、令和3年3月4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 その他契約後の留意点

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、その趣旨を十分に御理解いただき、研究開発に取り組んでいただきますようお願いいたします。

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。

### 12.1 医療研究開発の「社会共創」の推進

AMED は、「社会共創（Social Co-Creation）」の取組として、①医療研究開発にともない生じる倫理的・法的・社会的課題（ELSI）への対応、②多様な幸せ（well-being）を実現するためのダイバーシティ推進、③ Society 5.0 における医療研究開発のための持続可能な開発目標（SDGs）への対応、組織として推進しています。

（参考）AMED ウェブサイト「社会共創」

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

#### 12.1.1 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、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。本公募に採択された場合には、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必要です。このことを踏まえ、研究成果に関しての市民講座、シンポジウム及びインターネット上での研究成果の継続的配信、多様なステークホルダーを巻き込んだ円卓会議等の「国民との科学・技術対話」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](https://www8.cao.go.jp/cstp/stsonota/taiwa/taiwa_honbun.pdf)

なお、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ために、「医学系研究をわかりやすく伝えるための手引き」を適宜ご活用ください。

（参考）医療情報をわかりやすく発信するプロジェクト（医学系研究をわかりやすく伝えるための手引き）

<https://ez2understand.ifi.u-tokyo.ac.jp/>

#### 12.1.2 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、患者さんや御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<sup>\*</sup>（PPI：Patient and Public Involvement）の取組を促進します。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ることから、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。

(参考) AMED ウェブサイト「研究への患者・市民参画 (PPI)」

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

## 12.2 RIO ネットワーク（研究公正担当者のネットワーク）への登録

公正な研究活動を推進するに当たっては、各研究機関が保有する研究公正に関する情報やノウハウ等を交換し、互いに協力・連携することが重要です。このため、AMED は、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るための、RIO (Research Integrity Officer : 研究公正担当者) ネットワーク事業を行っています。

AMED 事業に採択された場合、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（以下「研究公正責任者」という。）が RIO ネットワークのメンバーに登録されます。具体的には、契約の際に提出する「経費等内訳・契約項目シート」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」欄に記載された方が登録されます（必ず記入してください）。

なお、研究公正責任者以外も RIO ネットワークに登録することができます。登録を希望される方は、AMED の RIO ネットワークのウェブサイトの案内に従って登録してください。

[https://www.amed.go.jp/kenkyu\\_kousei/rionetwork.html](https://www.amed.go.jp/kenkyu_kousei/rionetwork.html)

## 12.3 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<sup>※1</sup>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」<sup>※2</sup>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-Dajinkanboukouseikagakuka/kenkoukiken.doc>

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

## 12.4 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。

## 12.5 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）<sup>※1</sup>においては、国際標準化活動をさらに活性

化するために、認証の戦略的活用を促進することが記載されたので、AMED においても、国際標準化・認証を視野に入れた研究開発の促進に取り組むことにしています。

このため、本事業において、国際標準化・認証に結びつく可能性のある研究を実施する場合には、個別の研究開発計画において、認証に向けた基準策定を盛り込む、研究開発活動に認証機関を参画させる、公的研究機関においては、認証業務の立ち上げの際はその支援を検討するなど、国際標準化を視野に入れた研究開発に取り組むようお願いします。

※ 1 知的財産推進計画 2014

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

(該当箇所抜粋)

第 1 .産業競争力強化のためのグローバル知財システムの構築

4 . 国際標準化・認証への取組

(2) 今後取り組むべき施策

(特定戦略分野<sup>※2</sup>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

## 12.6 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<sup>※1</sup>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（医療分野の知財相談窓口）にお問い合わせください。Medical IP Desk については以下のウェブサイト<sup>※2</sup>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](https://www.amed.go.jp/chitekizaisan/chizai_riezon.html)

※ 2 Medical IP Desk [https://www.amed.go.jp/chitekizaisan/medical\\_ip\\_desk.html](https://www.amed.go.jp/chitekizaisan/medical_ip_desk.html)

## 12.7 シーズ・ニーズのマッチング支援システム「AMED ぷらっと<sup>®</sup>」

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<sup>®</sup>」を、平成 30 年 4 月より稼働しました。研究シーズを企業の担当者にアピールすることができ、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<sup>®</sup>利用開始等の詳細については、AMED ぷらっと<sup>®</sup>ウェブサイト<sup>※</sup>を参照してください。

※ AMED ぷらっと<sup>®</sup>ウェブサイト [https://www.amed.go.jp/chitekizaisan/amed\\_plat.html](https://www.amed.go.jp/chitekizaisan/amed_plat.html)

## 12.8 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。

## 12.9 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（橋渡し研究支援機関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御利用いただけます。（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照してください。

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。

※ 拠点一覧 [https://www.amed.go.jp/program/list/16/01/001\\_ichiran.html](https://www.amed.go.jp/program/list/16/01/001_ichiran.html)

## 12.10 研究者情報の researchmap への登録

researchmap<sup>※</sup>は国内最大級の研究者情報データベースで、登録した業績情報の公開も可能です。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、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るなど、効率化にもつながります。

なお、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、本事業に参画する研究者は積極的に researchmap に登録くださるよう、御協力をお願いします。

※ <https://researchmap.jp/>

## 12.11 開発したリソースの国内リソース拠点への寄託について

本事業の研究者は、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、国内リソース拠点<sup>※1</sup>へ当該バイオリソースを寄託<sup>※2</sup>し、広く研究者の利用に供することが強く推奨されます。

※1 ナショナルバイオリソースプロジェクト（NBRP）、理化学研究所バイオリソース研究センター、医薬基盤・健康・栄養研究所、大学等において整備されているバイオリソースの寄託・保存・提供を担う国内公共拠点

※2 当該リソースに関する諸権利は移転せずに、※1の国内リソース拠点等における利用（保存・提供）への利用を認める手続です。寄託同意書で提供条件を定めることで、利用者に対して、用途の制限や論文引用等の使用条件を付加することができます。

## 12.12 各種データベースへの協力

### (1) NBDC からのデータ公開について

国立研究開発法人科学技術振興機構のバイオサイエンスデータベースセンター（NBDC）が実施してきたライフサイエンスデータベース統合推進事業（<https://biosciencedbc.jp/>）では、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しています。また、「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）でも、NBDC（現 NBDC 事業推進部）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ライフサイエンス分野に関する次の種類のデータ及びデータベースのデータ提供や公開に御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	<a href="https://integbio.jp/dbcatalog/">https://integbio.jp/dbcatalog/</a>
2	構築した公開用データベースの収録データ	生命科学系データベース アーカイブ	<a href="https://dbarchive.biosciencedbc.jp/">https://dbarchive.biosciencedbc.jp/</a>

3	2のうち、ヒトに関するもの	NBDC ヒトデータベース	<a href="https://humandbs.biosciencedbc.jp/">https://humandbs.biosciencedbc.jp/</a>
---	---------------	---------------	---

(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）を臨床開発に活用することで、日本国内における医薬品・医療機器等の臨床開発を活性化させることを目指し、そのための環境整備を産官学で行う厚生労働省主導のプロジェクトです。国立国際医療研究センターは、疾患登録システム（患者レジストリ）の活用促進による、効率的な医薬品・医療機器等の臨床開発の支援の一環として、国内に存在する患者レジストリに関する情報の検索システムを構築し、一般公開しています（<https://cinc.ncgm.go.jp/>）。患者レジストリ及びコホート研究（治験・介入研究は除く。）に係る研究開発課題で同検索システムに未登録の場合は、登録に御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えます。これらへの対応を含め、AMED が指定する各種データベースへのデータ提供を依頼する際は、御協力をお願いします。

### 12.13 博士課程学生の処遇の改善について

「第6期科学技術・イノベーション基本計画」（令和3年3月26日閣議決定）においては、優秀な学生、社会人を国内外から引き付けるため、大学院生、特に博士後期課程学生に対する経済的支援を充実すべく、生活費相当額を受給する博士後期課程学生を従来の3倍に増加すること（博士後期課程在籍学生の約3割が生活費相当額程度を受給することに相当）を目指すことが数値目標として掲げられ、「競争的研究費や共同研究費からの博士後期課程学生に対するリサーチアシスタント（RA）としての適切な水準での給与支給を推進すべく、各事業及び大学等において、RA等の雇用・謝金に係るRA経費の支出のルールを策定し、2021年度から順次実施する。」とされており、各大学や研究開発法人におけるRA等としての博士課程学生の雇用の拡大と処遇の改善が求められています。

さらに、「ポストドクター等の雇用・育成に関するガイドライン」（令和2年12月3日文科科学省科学技術・学術審議会人材委員会）においては、博士後期課程学生について、「学生であると同時に、研究者としての側面も有しており、研究活動を行うための環境の整備や処遇の確保は、研究者を育成する大学としての重要な責務」であり、「業務の性質や内容に見合った対価を設定し、適切な勤務管理の下、業務に従事した時間に応じた給与を支払うなど、その貢献を適切に評価した処遇とすることが特に重要」、「大学等においては、競争的研究費等への申請の際に、RAを雇用する場合に必要な経費を直接経費として計上することや、RAに適切な水準の対価を支払うことができるよう、学内規程の見直し等を行うことが必要」とされています。

これらを踏まえ、本事業において、研究の遂行に必要な博士課程学生を積極的にRA等として雇用するとともに、業務の性質や内容に見合った単価を設定し、適切な勤務管理の下、業務に従事した時間に応じた給与を支払うこととしてください。また、本事業へ応募する際には、上記の博士課程学生への給与額も考慮した資金計画の下、申請を行ってください。

（留意点）

- ・「第6期科学技術・イノベーション基本計画」では博士後期課程学生が受給する生活費相当額は、年間180万円以上としています。さらに、優秀な博士後期課程学生に対して経済的不安を感じることなく研究に専念できるよう研究奨励金を支給する特別研究員（DC）並みの年間240万円程度の受給者を大幅に拡充する等としています。
  - ・「ポストドクター等の雇用・育成に関するガイドライン」では、研究プロジェクトの遂行のために博士後期課程学生を雇用する場合の処遇について、「競争的研究費等で雇用される特任助教等の平均的な給与の額等を勘案すると、2,000円から2,500円程度※の時間給の支払が標準的となるものと考えられる。」と示しています。
- （※）競争的研究費等で雇用される特任助教等の平均的な給与の額等を勘案すると、博士後期課程の場合2,000円から2,500円程度の時間給の支払が標準的となるものと考えられる。（令和2年8月に公表された「研究大学の教員の雇用状況に関する調査（速報版）」において、特任助教の給料月額中央値が存在する区分（40万円以上45万円未満）の額について、休日等を除いた実労働日（19日～20日）の勤務時間（7時間45分～8時間）で除した上で、博士後期課程学生の身分であることを考慮して0.8を乗じることでより算定。）
- ・具体的な支給額・支給期間等については、研究機関にて御判断いただきます。上記の水準以上又は水準以下での支給を制限するものではありません。
  - ・学生をRA等として雇用する際には、過度な労働時間とならないよう配慮するとともに、博士課程学生自身の研究・学習時間とのバランスを考慮してください。

#### 12.14 若手研究者の自立的・安定的な研究環境の確保について

「ポストドクター等の雇用・育成に関するガイドライン」（令和2年12月3日文科省科学技術・学術審議会人材委員会）において、「ポストドクターの任期については、3年未満の者も数多く存在するところであるが、あまりに短期間の任期については、キャリア形成の阻害要因となり得ることから、一定期間腰を据えて研究活動に集中できるような任期の確保が求められる。」「1、2か所程度でポストドクターを経験した後、30代半ばまでの3年から7年程度で次のステップへと進んでいくことが望ましいことに鑑みれば、各ポストについては3年から5年程度の任期の確保が望まれる。」とされています。

また、国立大学法人及び大学共同利用機関法人については、「国立大学法人等人事給与マネジメント改革に関するガイドライン～教育研究力の向上に資する魅力ある人事給与マネジメントの構築に向けて～」（平成31年2月25日文科省）において、「若手教員の育成と雇用安定という二つの観点を実現するためには、任期付きであっても、間接経費や寄附金等、使途の自由度の高い経費を活用することで、5～10年程度の一定の雇用期間を確保するなど、流動性を保ちつつも研究者育成の観点を取り入れた制度設計を推進することが望まれる」と記載されているところです。

これらを踏まえ、本事業により、特任教員やポストドクター等の若手研究者を雇用する場合には、部局等の人事担当や経理担当等にも確認の上、3年程度を任期の長さとして確保するよう努めるとともに、他の外部資金の間接経費や基盤的経費、寄附金等を活用すること等によって可能な限り短期間の任期とならないよう一定期間の任期を確保するよう努めてください。

## 12.15 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12月18日改正、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工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>

## 第 13 章 不正行為等への対応

### 13.1 不正行為等（不正行為・不正使用・不正受給）への対応

研究機関は、本事業に採択後、本事業に参画する研究者等（再委託先等を含む。）の不正行為等（不正行為（捏造、改ざん、盗用）・不正使用・不正受給）に係る告発を受け付けた場合は、下記表のガイドライン等や、AMED の「研究活動における不正行為等への対応に関するガイドライン」、研究機関が定める規程に基づき、不正行為等に係る調査を実施するなど適切に対応する必要があります。

研究機関において予備調査、本調査を実施することを決定した場合は、速やかに AMED に連絡してください。

所管府省	ガイドライン等の名称
厚生労働省	<ul style="list-style-type: none"><li>・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</li><li>・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）</li></ul>

### 13.2 本事業以外の不正行為等（不正行為、不正使用及び不正受給）に係る報告

研究機関は、本事業に採択後、以下に該当する場合は、速やかに機構に報告してください。

- ・本事業に参画する研究者等（再委託先を含む。）が、本事業以外の競争的研究費等に関して、不正行為等に係る本調査の対象となった場合
- ・本事業に参画する研究者等（再委託先を含む。）が、本事業以外の競争的研究費等に関して、不正行為等を行った等と認定された場合

### 13.3 不正行為等に対する措置

本事業に参画する研究者等（再委託先を含む。）が、本調査の対象となった場合又は不正行為等を行った等と認定された場合は、AMED は、研究機関及び研究者に対して、研究開発の一時停止、契約の解除等、委託研究開発費の全部又は一部の返還、競争的研究費等の申請及び参加資格の制限等の措置を講じます。

（参考）申請・参加資格制限期間（概要）

- 不正使用・不正受給
  - ・不正使用（私的流用あり） : 10 年
  - ・不正使用（私的流用なし） : 1～5 年
  - ・善管注意義務違反者（不正関与なし） : 1～2 年
- 不正行為（捏造、改ざん、盗用）
  - ・不正行為を行った者 : 2～10 年間
  - ・論文等の責任を負う著者（不正関与なし） : 1～3 年間

※詳細は、以下のウェブサイトを参照下さい。

[https://www.amed.go.jp/kenkyu\\_kousei/efforts.html](https://www.amed.go.jp/kenkyu_kousei/efforts.html)

#### **13.4 本事業で申請及び参加資格の制限が行われた場合の他の競争的研究費等における制限**

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、研究開発課題、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研究費等において、同様に、申請及び参加資格が制限される場合があります。

#### **13.5 他の競争的研究費等で申請及び参加資格の制限が行われた研究者等に対する制限**

本事業以外の、国又は独立行政法人等が所掌し、かつ原資の全部又は一部を国費とする研究資金（競争的研究費等、運営費交付金も含むがこれらに限られない。）（令和 6 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 5 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、本事業への研究開発代表者、研究開発分担者、研究参加者としての申請及び参加資格を制限します。事業採択後に、当該研究者の本事業への申請又は参加が明らかとなった場合は、当該事業の採択を取り消すこと等があります。また委託研究開発契約締結後に、当該研究者の本事業への参加が明らかとなった場合は、当該契約を解除すること等があります。

#### **13.6 不正事案の公表**

本事業において、13.3 の措置を講じたときは、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）AMED のウェブサイトにおいて公表します。また、関係府省のウェブサイトにおいて公表されることがあります。

## 第 14 章 お問合せ先

本公募要領の記載内容について疑問点等が生じた場合には、次表に示す連絡先にお問い合わせください※<sup>1</sup>、※<sup>2</sup>。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※<sup>3</sup>に掲載しますので、併せて参照してください。

※ 1 お問い合わせはなるべく電子メールでお願いします（以下アドレス"AT"の部分を変えてください）。

※ 2 電話番号のお掛け間違いに注意してください。電話受付時間は、特記がない場合、平日 10:00～12:00 及び 13:00～17:00 です。

※ 3 <https://www.amed.go.jp/koubo/>

照会内容	連絡先
公募研究開発課題、評価、提案書類の記載方法等	AMED 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・社会共創課 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・社会共創課 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・社会共創課 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 室町ちばぎん三井ビルディング 8 階 Tel: 03-3516-6181 E-mail: id3navi"AT"amed.go.jp
厚生労働省難治性疾患政策研究事業の研究課題（難治性疾患政策研究班）の確認	厚生労働省 健康局 難病対策課 ※お電話の前にまず、第 1 5 章 A.（5）（o）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： <a href="https://qa.e-rad.go.jp">https://qa.e-rad.go.jp</a> お問い合わせ方法については以下で確認してください： <a href="https://www.e-rad.go.jp/contact.html">https://www.e-rad.go.jp/contact.html</a> →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連絡してください： Tel：0570-057-060（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 2～5 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<sup>※1</sup>の実用化に関する研究分野

#### (1) 公募研究開発課題名

- A-1. 医薬品のシーズ探索研究（医薬品ステップ 0）
- A-2. 超希少難治性疾患に対する医薬品のシーズ探索研究（医薬品ステップ 0・超希少）
- A-3. 医薬品の治験準備（医薬品ステップ 1）
- A-4. 医薬品の治験<sup>※2</sup>（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、技術革新による画期的な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により患者の 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。

- (a) 本公募では、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）研究開発課題を募集する。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）」及び「A-2. 超希少難治性疾患に対する医薬品のシーズ探索研究（医薬品ステップ 0・超希少）」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は、「A-3. 医薬品の治験準備（医薬品ステップ 1）」に進める状況になっていること。
- (b) 「A-3. 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は、「A-4. 医薬品の治験（医薬品ステップ 2）」へ進める状況となっていること。
- (c) 「A-4. 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は、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、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）」及び「A-2.超希少難治性疾患に対する医薬品のシーズ探索研究（医薬品ステップ0・超希少）」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-3.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、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-4.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、治験薬概要書最新版、企業等への導出を示す資料。

#### (4) 研究開発の規模等

##### ●注意事項

#	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
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（上限） （間接経費を含まず）	最長 3 年 令和 6 年 4 月（予定）～ 令和 8 年度末	0～12 課題 程度
A-2		超希少難治性疾患に対する医薬品のシーズ探索研究（医薬品ステップ0・超希少）	1 課題あたり年間 20,000 千円（上限） （間接経費を含まず）	最長 3 年 令和 6 年 4 月（予定）～ 令和 8 年度末	0～3 課題 程度
A-3		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（上限） （間接経費を含まず）	最長 3 年 令和 6 年 4 月（予定）～ 令和 8 年度末	0～8 課題 程度
A-4		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（上限） ドラッグ・リポジショニングは 60,000 千円（上限） （間接経費を含まず）	最長 3 年 令和 6 年 4 月（予定）～ 令和 8 年度末	0～6 課題 程度

(1) 一般的な注意事項については第 2 章 2. 1 注意事項を参照すること。

(2) 「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。

(3) A-4 では「新規化合物」の一課題当たりの年間研究開発費の規模を、80,000 千円（上限）（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。

(4) A-4 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（上限）（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) ※3 が明記されていること。

※3 開発候補物名（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、アンメットメディカルニーズの充足性）、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）」及び「A-2. 超希少難治性疾患に対する医薬品のシーズ探索研究（医薬品ステップ0・超希少）」に共通の条件

(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、毒性学等の開発候補物の開発及び評価が可能な専門家※4 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。

※4 ここでいう創薬化学等の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。毒性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. 超希少難治性疾患に対する医薬品のシーズ探索研究（医薬品ステップ0・超希少）」の条件

(d) 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り、かつ、超希少難治性疾患を対象としていること。対象患者数は国内に 1,000 人未満を目安とし、提案が妥当である根拠を研究開発書に記載すること（必須）。また、根拠となる客観的証拠（国内患者を対象とした、公開済みかつ査読有りの文献や厚生労働科学研究事業や信頼される学会の調査結果等）を資料番号 10 に追加すること。複数の根拠があり、少ない患者数を呈示する場合は、その合理性を説明すること。接頭語やただし書き等を提案者の判断で追加することによって、患者数を 1,000 人未満とすることは認められません。

超希少難治性疾患については、独立した疾患概念が確立している、もしくは既存の疾患概念に当てはまらないことが明確であることが望ましい。明らかに国内に 1,000 人以上の患者が確認されている疾患の亜型、サブタイプ、一症候に関する研究は認められない。また、希少であっても医原性疾患は

対象外とする。死亡患者数は対象患者数に含めない。本採択条件を満たすかどうかは評価委員の判断に委ねられる。

#### 「A-3. 医薬品の治験準備（医薬品ステップ1）」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。
- (f) 治験用原薬と同等の品質が求められる非臨床試験で使用する原薬、及び原薬の規格安定性用、製剤処方製法検討用の原薬の調達が進んでいるか、あるいは調達が可能であることの理由を記載すること。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-4. 医薬品の治験（医薬品ステップ2）」の条件

- (g) 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。
- (h) 製造販売承認申請を実施する導出予定企業名及び導出予定時期が記載されており、本研究にて臨床 POC が取得できた場合は当該企業が承認申請を担当することに同意したことを示す記録（メール等で可）が提出されていること。なお、AMED との契約締結後 1 年以内に、本件についての契約書を研究開発代表者と当該企業にて締結することとし、当該企業の権利、競争上の地位その他正当な利益を害するおそれがある情報を除き、AMED が契約内容を閲覧することを承諾すること。
- (i) 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。
- (j) 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。
- (k) AMED との契約締結後、半年以内に治験届を提出できること。
- (l) 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）。
- (m) 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<sup>※5</sup>、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等の専門家<sup>※4</sup>、薬物動態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。  
※5 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。
- (n) 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等に関するプロトコル又はプロトコル概要等（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)を資料番号5に記載すること。

- (o) 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<sup>※6</sup>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。

※6 <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5年度 難治性疾患政策研究事業 研究課題一覧表」<sup>※7</sup>を確認すること。

※7 <https://www.nanbyou.or.jp/entry/26879>

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)<sup>※8</sup>へ伝え、相談すること。

※8 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ーンを設定すること。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) 遵守すべき研究に係る指針等を明示し、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) 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。

- (f) 研究開発費を上限として完遂できる試験計画とすること。完遂に追加資金が必要となる場合はその調達先・調達方法を提案書に記載すること。

#### 【公募研究開発課題毎の留意事項】

##### 「A-1. 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 レギュラトリーサイエンス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<sup>※1</sup>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、レギュラトリーサイエンス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。

※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。

- (i) 安全性試験に使用する試験薬等については適切な製造、管理を実施する製造場所を確認しておくことが望ましい。
- (j) 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<sup>※2</sup>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 (5) 採択条件 (o) ○特記事項参照

##### 「A-2. 医薬品の治験（医薬品ステップ2）」の留意事項

- (k) 研究期間内にコンパッションエ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。
- (l) 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の施行、さら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こと。なお、エントリー期間は1年以内を推奨するが、3年間の研究期間終了時点で総括報告書が完成するよう逆算して「Key

open、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。

- (m) プラセボ対象試験を実施の場合はその試験デザインの選択理由、被験者保護の視点からの工夫、倫理専門家の評価等を提案書に記載すること。
- (n) 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。
- (o) 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。
- (p) 新型コロナウイルス感染症等の蔓延、天災、災害に関連した組織 BCP (Business Continuity Plan) に応じて、治験薬確保を含めた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。

#### (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

※1 資料の位置づけは以下を参照すること。(「A-1」～「A-4」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。

※2 資料については、該当資料の右上に資料番号を明示し、適宜結合した上で PDF 形式にて提出すること。

※3 ヒト全ゲノムシーケンス解析を実施する場合、ヒト全ゲノムシーケンス解析プロトコル様式の提出が必須になる。シーケンスデータやプロトコル情報の詳細については、第4章の提出書類の作成・提出(第4章4.2)の記載を参照すること。



資料 番号	資料の位置づけ※1、2			提出物	本章以外の 主な参照箇所	e-Rad File※1、3	備考
	A-1 A-2	A-3	A-4				
1	必須			研究開発提案書	3章、4章		指定様式
2	-	必須		研究開発提案書別紙（非臨床床試験サマリー）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
3	-	必須		PMDA RS 戦略相談の事前面談を実施済みの場合はサマリー（様式自由；アカデミア側作成の要旨で可）、対面助言を実施済みの場合は対面助言記録及び別紙（相談内容）	4.2.(2)	統合ファイルとして提出	
4	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等に関するプロトコル又はプロトコル概要等（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
5	-		必須	エントリー計画及び根拠資料	-	統合ファイルとして提出 (4~8)	様式自由
6	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
7	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）	-		
8	-	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	-		
9	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（研究計画を説明する上で必要な資料に絞り、重要な資料はできる限り全文） A-2: 対象疾患が1000例未満であることを示す資料	-	統合ファイルとして提出 (9~11)	現在の進捗段階に応じて、相当する書類を添付すること
10	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	-		
11	任意	必須		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	-		
12	該当する場合は必須			ヒト全ゲノムシーケンス解析プロトコル様式（ヒト全ゲノムシーケンス解析を実施する場合）	4章※3		指定様式

## 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

B-1.医療機器<sup>※1</sup>の治験準備（医療機器ステップ1）

B-2.医療機器<sup>※1</sup>の治験（医療機器ステップ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」における医療機器（プログラム医療機器を含む）を指し、医薬品については「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検査や治療が期待されており、新規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・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。

「B-1.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、治験用機器の確保、治験プロトコルの作成、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は、治験または臨床試験へ進める状況となっていること。

「B-2.医療機器の治験（医療機器ステップ2）」として、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、QMS省令に適合した製品の製造等）し、原則として研究開発期間終了時までには、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は、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必要があるため、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。

「B-1.医療機器の治験準備（医療機器ステップ1）」として、非臨床試験総括報告書（安全性試験については医療機器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、治験または臨床試験実施計画書、企業等への導出を示す資料（該当する場合）。

「B-2.医療機器の治験（医療機器ステップ2）」として、治験総括報告書、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、製品開発仕様書、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	新規採択課題予定数
B-1	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 60,000 千円 (上限) (間接経費を含まず)	最長 3 年 令和 6 年 4 月 (予定) ~ 令和 8 年度末	0~1 課題程度
B-2		医療機器の治験 (医療機器ステップ2)	1 課題あたり年間 80,000 千円 (上限) (間接経費を含まず)	最長 3 年 令和 6 年 4 月 (予定) ~ 令和 8 年度末	0~1 課題程度

(注)「医療機器の治験準備 (医療機器ステップ1)」および「医療機器の治験 (医療機器ステップ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。  
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ものの国内では未承認の医療機器や、機器の機能に着目した他臓器・部位等への適用追加のうち治験が必要なものも含む。

#### (4) 採択条件

##### 【共通部分】

- (a) 開発しようとする医療機器が、特定された希少難治性疾患の検査または治療を目的とし、かつクラスⅡ、Ⅲ (PMDA 審査が必要なもの)、またはⅣに該当するものであること。
- (b) 対象とする疾患の現状 (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、提案する検査法または治療法の優位性を含む TPP (Target Product Profile) ※<sup>2</sup>が明記されていること。

※<sup>2</sup> 製品名、薬事申請上の分類 (管理医療機器、高度医療機器およびクラスなど)、機能、性能、品質、耐久性、信頼性、安全性 (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 (生物学的安全性評価)、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。

##### 【公募研究開発課題毎の条件】

「B-1.医療機器の治験準備 (医療機器ステップ1)」に共通の条件

- (c) 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。
- (d) 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。
- (e) 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。
- (f) 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。

「B-2.医療機器の治験（医療機器ステップ2）」に共通の条件

- (g) 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。
- (h) 製造販売承認申請を実施する導出予定企業名及び導出予定時期が記載されており、本研究にて臨床 POC が取得できた場合は当該企業が承認申請を担当することに同意したことを示す記録（メール等で可）が提出されていること。なお、AMED との契約締結後 1 年以内に、本件についての契約書を研究開発代表者と当該企業にて締結することとし、当該企業の権利、競争上の地位その他正当な利益を害するおそれがある情報を除き、AMED が契約内容を閲覧することを承諾すること。
- (i) 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。
- (j) 対象とする機器等の入手方法（企業等から供与、購入、自施設で製造、委託製造）、更に適用追加を含む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・効果と使用方法等）が明記されていること。
- (k) 開発対象の医療機器が 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。
- (l) AMED との契約締結後、半年以内に治験届を提出できること。
- (m) 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）。
- (n) 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（当該医療機器の対象となる疾患に関わる臨床専門家、生物統計家<sup>※3</sup>、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、医療機器の設計から製品化までを網羅的に評価できる専門家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。

※3 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。

○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<sup>※4</sup>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。

※4 <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 5 年度 難治性疾患政策研究事業 研究課題一覧表」<sup>※5</sup>を確認すること。

※5 <https://www.nanbyou.or.jp/entry/26879>

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 1 4 章を参照）※6 へ伝え、相談すること。

※6 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。

## (5) 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ーンを設定すること。各タスク（分担研究等）の開始時期、完了時期、担当者に加え各タスクの依存関係（前後関係）を示すこと。
- (b) 遵守すべき研究に関係する指針等を明示し、本研究開発期間中に予定される臨床研究の内容を具体的に記載すること。また、中央倫理審査委員会等で審査をする場合（予定を含む）は、当該委員会設置機関名を明記すること。
- (c) レジストリを構築する場合は、今後 AMED が指定するデータベース等と連携すること。他の研究班等が当該疾患のレジストリを既に構築している場合は重複がないように配慮すること。また、継続性の確保に努めること（事故・災害発生時の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) 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、及び開発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。
- (f) 新型コロナウイルス感染症等の蔓延、天災、災害に関連した組織 BCP（Business Continuity plan）に応じて、研究推進のリスク評価、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。
- (g) 事業化に向けた開発を促進するため、事業の進捗段階に合わせて、AMED が編成した専門家による許認可戦略、保険戦略、QMS 構築または事業化戦略等に関するマネジメント支援（実用化プログラム※7）を実施します。  
AMED から実用化に向けたマネジメント支援（実用化プログラム※7）の利用を勧める案内を受け取った研究開発代表者は、希望すれば当該プログラムを利用することができます。  
※7 実用化プログラム：事業計画上の課題点の洗い出しや必要となる取り組みの整理、事業検討に必要な観点などについて、AMED が編成した専門家の知見を活用できる仕組み。
- (h) 研究開発費を上限として完遂できる試験計画とすること。完遂に追加資金が必要となる場合はその調達先・調達方法を提案書に記載すること。

#### 「B-1.医療機器の治験準備（医療機器ステップ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、医療機器 GLP、医療機器 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。
- (j) 既に PMDA レギュラトリーサイエンス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※<sup>8</sup>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、レギュラトリーサイエンス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。  
※<sup>8</sup> 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。
- (k) 現時点で導出先企業が確定している事は必須ではないが、導出に向けた協議が開始されていることが望ましい。導出先企業が未定の場合は研究期間内にどのようにアプローチするか計画を示すこと。企業導出に関する協議状況、先方の同意を示す資料（メール等でも可）、もしくは導出先企業へのアプローチ計画を提出すること。

#### 「B-2. 医療機器の治験（医療機器ステップ2）」の留意事項

- (l) 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。
- (m) 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「Key open、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。
- (n) 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。
- (o) 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。

#### (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

※9 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**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

※10 ヒト全ゲノムシーケンス解析を実施する場合、ヒト全ゲノムシーケンス解析プロトコール様式の提出が必須になる。シーケンスデータやプロトコール情報の詳細については、第4章の提出書類の作成・提出（第4章4.2）の記載を参照すること。

資料 番号	資料の位置づけ ※9		提出物	本章以外の 主な参照箇 所	e-Rad File※9	備考
	B-1	B-2				
1	必須		研究開発提案書	3章、 4章		指定様式
2	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
3	必須		PMDA レギュラトリーサイエンス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）	4.2.(2)	統合ファイル として提出	
4	必須		提案する研究開発課題で実施する実験、研究に関する臨床試験又は非臨床試験に関するプロトコル又はプロトコル概要等（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）	－	統合ファイル として提出	様式自由 英語可
5	必須	－	QMS 省令に基づく製造管理、品質管理体制を示す資料	－		様式自由
6	－	必須	エントリー計画及び根拠資料	－		様式自由
7	必須		企業導出に関する協議状況又は先方の同意を示す資料（メール等でも可）			様式自由
8	必須		開発対象物に関する概要	－	統合ファイル として提出	指定様式
9	必須		製品開発仕様書	－		様式自由
10	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）	－	統合ファイル として提出	
11	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 のものの本文	－	統合ファイル として提出	
12	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	－		
13	任意		開発候補物の確保状況（例えば、被験者〇名について△年間使用が可能か、など）を示す書類	－		
14	該当する場合は 必須		ヒト全ゲノムシーケンス解析プロトコル様式（ヒト全ゲノムシーケンス解析を実施する場合）	4章※10		指定様式



## 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、殊に細胞医療・遺伝子治療分野においては世界的な研究開発競争の潮流にあり、我が国独自の画期的な医療技術も含め、本領域での治療開発が強く期待されている。

本公募研究開発課題では、再生・細胞医療・遺伝子治療について基礎から臨床段階まで切れ目無く一貫した支援を行い、アカデミア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 取得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、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則した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、治験又は再生医療等安全確保法に則した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、治験又は再生医療等安全確保法に則した臨床研究を実施（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、GCTP 製造等）し、原則として研究開発期間終了時まで、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）、治験では治験薬と同等の製剤の確保・提供を証明・保証する書類、治験薬概要書、再生医療等安全確保法に則した臨床研究では該当する同様の資料、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、治験では治験総括報告書、治験用製剤の確保・提供を証明・保証する書類、治験薬概要書、再生医療等安全確保法に則した臨床研究では該当する同様の資料、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（上限） （間接経費を含まず）	最長 3 年 令和 6 年 4 月（予定）～ 令和 8 年度末	0～12 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（上限） （間接経費を含まず）		0～7 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（上限） （間接経費を含まず）		0～1 課題程度

#### (5) 採択条件

##### 【共通部分】

(a) 再生・細胞医療・遺伝子治療について、治験あるいは申請までの研究開発の経験が研究代表者にあること、又は経験がある研究者（アカデミア・企業は問わない）が体制に加わっていること（提案書【協力体制】に該当者を記入すること）。その開発で得られた成果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<sup>※1</sup>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) <sup>※2</sup>が明記されていること。

※1 「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。

※2 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、アンメットメディカルニーズの充足性）、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。開発継続の判断基準についても想定があれば記載すること。

##### 【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) 治験又は再生医療等安全確保法に則した臨床研究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。

- (e) 治験製品と品質の一貫性が求められる非臨床試験で使用する被験製品、及び品質試験、製剤処方製法検討用の被験製品の製造に用いる原材料等の調達が進んでいるか、あるいは調達が可能であることの根拠を記載すること。

#### 「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

- (f) 治験又は再生医療等安全確保法に則した臨床研究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) 製造販売承認申請を実施する導出予定企業名及び導出予定時期が記載されており、本研究にて臨床POCが取得できた場合は当該企業が承認申請を担当することに同意したことを示す記録（メール等で可）が提出されていること。なお、AMEDとの契約締結後1年以内に、本件についての契約書を研究開発代表者と当該企業にて締結することとし、当該企業の権利、競争上の地位その他正当な利益を害するおそれがある情報を除き、AMEDが契約内容を閲覧することを承諾すること。
- (h) 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）が明記されていること。
- (j) AMEDとの契約締結後、半年以内に治験が開始できる開発計画であること。
- (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（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）。
- (l) 治験（多施設で実施する場合は多施設共同治験）又は再生医療等安全確保法に則した臨床研究を実施できる体制や専門家（生物統計家<sup>※3</sup>、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。  
※3 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) 遺伝子治療技術を利用した製品を用いた治験又は再生医療等安全確保法に則した臨床研究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。
- (n) 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等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）を記載すること。
- (o) 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<sup>※4</sup>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。 ※4 <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5年度 難治性疾患政策研究事業 研究課題一覧表」<sup>※5</sup>を確認すること。 ※5 <https://www.nanbyou.or.jp/entry/26879>

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）<sup>※6</sup>へ伝え、相談すること。

※6 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、期間間際の問い合わせは避けること。

## （6）留意事項

### 【共通部分】

（a）再生医療等製品<sup>※1</sup>の開発に資する研究を対象とする。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や細胞からのエクソソーム分泌を介した治療、あるいはウィ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なるが、最終的に再生医療等製品の開発に資するものであるとする根拠を提案書に記載すること。

※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」における再生医療等製品を指す。

（b）研究開発費を上限として完遂できる試験計画とすること。完遂に追加資金が必要となる場合はその調達先・調達方法を提案書に記載すること。

（c）承認時に必要な要件の検討をどの段階で実施すれば良いかを薬事担当者（特に CMC 薬事担当者）と相談し、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ーンを設定すること。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。

（d）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。

（e）既に PMDA レギュラトリーサイエンス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<sup>※2</sup>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、レギュラトリーサイエンス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。

※2 応募時点で対面助言を実施済みであることは必須ではないが、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。

（f）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。

- (g) 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。
- (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-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）」の留意事項

- (i) 引き続きステップ 1（治験準備）での研究開発を計画する場合は、非臨床安全性試験計画及び非臨床安全性データパッケージの充足性はステップ 1 の計画策定に重要なので、本研究計画に PMDA との対面助言（RS 戦略相談）を織り込むことが望ましい。

「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

- (j) 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）
- (k) 研究計画を立案する際は、PMDA レギュラトリーサイエンス戦略相談の対面助言で非臨床安全性試験及び非臨床安全性データパッケージの充足性等を確認しておくこと及び安全性試験に使用する試験薬等については適切な製造、管理を実施する製造場所であることを確認しておくことが望ましい。
- (l) 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<sup>※3</sup>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。

※3 採択条件（o）の「○特記事項」を参照。

「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

- (m) 研究期間内にコンパッション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。
- (n) 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。

- (o) 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。
- (p) 新型コロナウイルス感染症等の蔓延、天災、災害に関連した組織 BCP (Business Continuity Plan) に応じて、治験薬（再生医療等製品を含む）確保を含めた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。

#### (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

※1 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

※2 資料については、該当資料の右上に資料番号を明示し、適宜結合したものを PDF 形式で提出すること。

※3 ヒト全ゲノムシーケンス解析を実施する場合、ヒト全ゲノムシーケンス解析プロトコル様式の提出が必須になる。シーケンスデータやプロトコル情報の詳細については、第 4 章の提出書類の作成・提出（第 4 章 4.2）の記載を参照すること。

資料番号	資料の位置づけ※1			提出物	本章以外の 主な参照箇所	e-Rad File※2	備考
	C-1	C-2	C-3				
1	必須			研究開発提案書	3章、4章		指定様式
2	-	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）	-	統合 ファイル として 提出	指定様式
3	-	必須		PMDA RS 戦略相談の事前面談を実施済みの場合は サマリー（様式自由；アカデミア側作成の要旨で 可）、対面助言を実施済みの場合は対面助言記録及 び別紙（相談内容）	4.2.(2)		
4	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等に関するプロトコ 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）	-	統合 ファイル として 提出	様式自由 英語可
5	-	必須		エントリー計画及び根拠資料	-		様式自由
6	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
7	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）	-	統合 ファイル として 提出	現在の進 捗段階に 応じて、 相当する 書類を 添付する こと。
8	-	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	-		
9	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	-	統合 ファイル として 提出	
10	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	-		
11	任意	必須		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	-		
12	該当する場合は 必須			ヒト全ゲノムシーケンス解析プロトコル様式 （ヒト全ゲノムシーケンス解析を実施する場 合）	4章※3		指定様式

## 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

- D-1. 希少難治性疾患の診療に直結するエビデンス創出研究（エビデンス創出）
- D-2. 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・小児<sup>※1</sup>）
- D-3. 超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・超希少）
- D-4. 領域別の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・領域別）
- D-5. 希少難治性疾患の診療に直結するプログラム医療機器開発の推進研究（エビデンス創出・SaMD<sup>※2</sup>）

※1 小児：本公募における小児とは18歳未満の者としてします。応募にあたっては留意事項（u）も参照ください。

※2 SaMD：プログラム医療機器（Software as a Medical Device）

### (2) 背景

難病（本公募では希少難治性疾患と同義と扱う）は、1）発病の機構が明らかでなく、2）治療方法が確立していない、3）希少な疾患であって、4）長期の療養を必要とするもの、という4つの条件を満たす疾患の総称と定義されている。難病は、その種類が多い一方で疾病ごとの症例数が少なく、診療に直結したエビデンスを創出しにくい分野であり、診療ガイドライン等<sup>※</sup>の策定そのものについても多くの労力が必要となる。これらの制約のなか、厚生労働科学研究においては、難病のニーズや現状を把握した上で、既存のエビデンスに基づく診療ガイドライン等の策定、診療提供体制の構築、診断基準の策定等がなされているところである。しかしなお、エビデンスレベルが低い臨床クエスチョンに関する研究開発（future research）が残されており、その領域をAMED研究において実施する。

近年の分子生物学の進歩により、様々な難病の病態が明らかになりつつあり、医薬品等の研究開発の加速が期待されている。この加速を実現するには、構造化された質の高い疾患レジストリ構築やバイオマーカー・サロゲートマーカー開発等の課題がある。臨床現場で用いられている評価指標と薬効評価に用いる評価指標が同一ではない場合もあり、疾患特性と目的に応じた評価指標の設定が必要である。また、特に患者数の少ない超希少難治性疾患（本公募では国内患者数が1,000人未満の難病とする）においては、疾患レジストリ等の研究基盤が十分形成されていない場合に、実用化研究に取り組みずにいる現状がある。疾患レジストリは、創薬研究だけでなく、今後の様々な医療施策の決定にも重要な基盤である。

また、医学の進歩に伴い、小児の難病患者の死亡率は低下傾向にあるが、一方で医療行為を恒常的に要する患者は増加傾向と考えられる。小児領域の医学研究は市場規模が小さいこと等の理由から、一般的に開発が進みにくいことが指摘されている。小児の難病患者を速やかに診断し治療につなげることで、QOLの向上等に資する研究が求められている。

さらに、「国民が受ける医療の質の向上のための医療機器の研究開発及び普及の促進に関する基本計画」（令和4年）によると、国民の健康寿命の延伸のためには医療機器産業による医療の質の更なる向上が望まれている。「プログラム医療機器等実用化促進パッケージ戦略2」（令和5年）においてもSaMDの実用化促進が期待されている。上記の基本計画によると医療機器の実用化には、研究段階から開発段階への障壁と開発段階から製品化・事業化への障壁という二つの障壁を越える必要があるとされている。しかし難病領域においては収益性の観点等から開発が十分に行われているとは言いがたい。また、SaMDの一つである治療用アプリの開発を一例に挙げると、有効性や安全性の評価方法はまだ確立していないとの指摘がある（医薬品医療機器レギュラトリーサイエンス, 54(5), 424~427 (2023))。難病領域にお



いては、まず研究段階から開発段階への障壁を越える必要があり、そのためには医療機器開発の萌芽となる適切なエビデンスに基づいたプロトタイプの前製と有効性や安全性の評価指標が必要である。

そこで本公募研究開発課題では、以下に記した目標の達成を目指す研究班を募集する。

※診療ガイドライン、診療の手引き、診断基準・重症度分類、等

### (3) 目標

○D-1 (疾患別)：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を創出し、難病患者の医療の最適化に寄与する。

○D-2 (疾患別・小児)：小児期発症の希少難治性疾患におけるライフステージ別の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、難病患者の医療の最適化に寄与する。

○D-3 (疾患別・超希少)：研究基盤が不十分な超希少難治性疾患について、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、難病患者の医療の最適化に寄与する。

○D-4 (領域別)：領域統合的かつ合理的な研究開発を行うことで、希少難治性疾患における複数の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、難病患者の医療の最適化に寄与する。

○D-5 (SaMD)：希少難治性疾患に係るプログラム医療機器開発において、実用化（承認申請）に寄与するプロトタイプを前製し、有効性・安全性の評価指標を作成する。

### (4) 求められる成果 (D-1～D-4 では①～③を、D-5 では④が該当します)

- ① 診療ガイドライン等の作成・改訂に直結するエビデンスの創出を示す資料。具体的には原著論文、研究成果をもとに作成・改訂された診療ガイドライン（該当部分のみ抜粋してください）等を指します。
- ② 疾患レジストリを新規に構築もしくは既存レジストリを拡充したことを示す資料。
- ③ バイオマーカーやサロゲートマーカーなどの候補物を示す資料（研究開発項目にこれらの候補物探索を含めている場合は必須）。
- ④ 実用化（承認申請）に寄与するプロトタイプの前製の資料。当該プロトタイプの前製の有効性・安全性を評価する指標を示す資料。

(5) 研究開発費の規模等

#	分野等	公募研究開発課題名	1 課題あたりの研究開発費規模	研究開発実施予定期間	新規採択課題予定数※
D-1	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)	年間 10,000 千円 上限 (適応外の臨床研究 ※※を含む場合は 15,000 千円上限) (間接経費を含まず)	最長 3 年 令和 6 年 4 月 (予定) ~ 令和 8 年度 末	0~5 課題 程度
D-2		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・小児)			0~4 課題 程度
D-3		超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・超希少)			0~4 課題 程度
D-4		領域別の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・領域別)	年間 25,000 千円 上限 (間接経費を含まず)		0~3 課題 程度
D-5		希少難治性疾患の診療に直結するプログラム医療機器開発の推進研究(エビデンス創出・SaMD)	年間 10,000 千円 上限 (間接経費を含まず)		0~2 課題 程度

※研究開発費の規模及び新規採択課題予定数等の留意事項は、本公募要領の第 3 章を十分に御確認ください。審査の内容によって予定数を超える課題を採択候補とする場合があります。

※※公知申請・先進医療 B・特定臨床研究(ただし企業から資金提供を受けない場合に限る)にて国内では未承認若しくは適応外使用を伴う医療技術の有効性と安全性を評価することを目指した研究開発提案を指します。

(6) 採択条件 以下項目を満たさないと評価委員会で判断された場合は不採択となります。以下において、【数字】は上記公募番号(D-1~D-5)に対応する条件を示します。例えば【1】であればD-1に、【1-5】であればD-1からD-5の全て公募枠に該当する事項ということを意味します。この記載は留意事項でも同様です。

- (a) 【1-5】本公募の背景及び目標を理解した研究開発提案としてください。研究開発提案に治験および製薬企業から資金提供を受ける特定臨床研究を含めないでください。製造販売業者が行う製造販売後臨床試験や調査を含めないでください。
- (b) 【2】小児科診療に従事している医師が研究開発代表者(以下代表者)もしくは研究開発分担者(以下分担者)を担ってください。
- (c) 【3】国内患者数が1,000人未満の疾患を研究開発対象としてください。国内患者数を示す客観的根拠(国内患者を対象とした、公開済みかつ査読有りの文献や厚生労働科学研究事業や信頼される学会の調査結果等)を研究開発提案書に記載してください。接頭語やただし書き等を提案者の判断で追加することによって、患者数を1,000人未満とすることは認められません。
- (d) 【4】任意の疾患領域に含まれる4疾患以上の希少難治性疾患を研究対象としてください。疾患領域は以下の14疾患領域から1領域を選択してください(神経・筋疾患、代謝疾患、染色体・遺伝子異常、免疫疾患、循環器疾患、消化器疾患、内分泌疾患、血液疾患、腎・泌尿器疾患、呼吸器疾患、皮膚・結合組織疾患、骨・関節疾患、聴覚・平衡機能疾患、視覚疾患)。

- (7) 留意事項 各公募枠に応じた事項を満たしてください。
- (e) 【1-5】 **希少難治性疾患の定義の詳細に関して、本公募（診療に直結するエビデンス創出研究分野）では下記条件とします。難治性疾患実用化研究事業全体の方針を反映したものではありませんので、他公募枠に応募する際は、最新の公募要領および研究開発提案書に記載された他公募枠での条件を御確認ください。** 指定難病であれば定義を満たすとします。指定難病ではない疾患の研究開発対象とする場合は、定義を満たす具体的な説明を研究開発提案書に記載してください（小児慢性特定疾病であっても、指定難病でない場合は同様の対応が必要です）。研究開発提案書の内容は評価委員会または AMED（PSPO を含む）が判断します。複数の疾患を対象にする場合でも、全ての疾患が当該公募枠の採択条件・留意事項を満たしていることが求められます。
- ① 発病の機構が明らかでない：原因遺伝子等が判明している場合であっても、病態解明が不十分な場合は応募可能です。外傷や医療処置等、特定の外的要因によって疾病が発症することが明確であり、当該要因を回避・予防することにより発症を回避できる場合は該当しないものとします。感染症やがん等が原因となって発症する二次的病態（後遺症等）は、一次的な病態が契機となって発症し、一次的病態とは異なる症状を示し、その病態解明が不十分なものに限り本公募の支援対象としますが、詳細を研究開発提案書に記載してください。
  - ② 治療法が確立していない：既存の治療方法では寛解困難もしくは、寛解までは期待できるものの完治は困難な場合とします。完治が十分に期待される疾患でも、提案の理由がある場合は研究開発提案書に記載してください。
  - ③ 希少な疾患である：研究開発提案書で希少性について説明してください。**ただし、【D-3】については固有の採択条件が優先されます。**
  - ④ 長期の療養を必要とする：発症してから治癒することなく、生涯にわたり何らかの症状が持続する場合とします。発作性の疾患のように、平時は症状が生活面に支障をきたさない場合でも、致死的な症状をきたすリスクを軽減するために侵襲性の高い治療を必要とする場合は該当するものとします。
- (f) 【1-5】 疾患概念について、本公募の採択を目的とした変更や提案は行わないでください。疾患概念の再検討が必要となっている疾患を研究対象とする場合は、一定の客観的支援が得られていることを研究開発提案書に記載してください。
- (g) 【1-5】 他事業で組織的に支援している疾患（がん、感染症、認知症、指定難病以外の循環器疾患や腎疾患および免疫・アレルギー疾患等を含む）は適切な事業に応募してください。本公募においてがん該当する疾患は「がん登録推進法施行令第 1 条第 2 項」に掲載されている疾患とします。本公募における認知症とは、アルツハイマー病（神経原線維変化型老年期認知症などの類縁疾患を含む）、レビー小体型認知症、血管性認知症、前頭側頭型認知症の総称と定義し、これら 4 疾患の応募は当事業では支援対象外となりますので注意してください。他事業で組織的に支援している疾患を合併もしくは関連している希少難治性疾患を本公募に提案する場合は、主たる研究開発提案を本公募の趣旨に沿うものにしてください。
- (h) 【1-5】 クリニカルクエスションは診療の意思決定に寄与するものとしてください。設定においては最新の「Minds 診療ガイドライン作成マニュアル」等を参照してください。
- (i) 【1-5】 患者試料や画像データを用いた研究開発や基礎研究で見出されたバイオマーカーやサロゲ

ートマーカー候補物の臨床評価を行う研究開発を提案することは可能です。基礎研究を主体とする研究開発は「希少難治性疾患の克服に結びつく病態解明研究分野」に提案してください。

- (j) 【1-5】 創出されるエビデンスの内容等を鑑み、研究開発提案が最も合致する公募枠に応募してください。研究開発提案を提出した後に公募枠を変更することはできません。
- (k) 【1-5】 「研究への患者・市民参画」(PPI) が適切に組み込まれた研究開発提案としてください。個々の疾患の状況に応じ、PPI達成の過程として、研究参加者の募集・研究内容の啓蒙等を行うことは可能ですが、それらを目的とはしないでください。PPIを研究開発提案に組み込むことが困難と判断した場合は、その理由を研究開発提案書に記載してください。
- (l) 【1-5】 作成・改訂を予定する診療ガイドライン等に関係する関連学会において、診療ガイドライン策定に参加できない資格基準を設定している場合、代表者が当該基準に抵触していないことを求めます。資格基準とは、日本医学会の「診療ガイドライン策定参加資格基準ガイダンス」(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します。
- (m) 【1-5】 研究体制として、当該研究開発を適切に遂行するために必要な知識・経験を有する専門家の参画を求めます。体制図には、代表者、分担者、協力企業、厚生労働省難治性疾患政策研究事業の研究班(以下厚労政策班)や関連学会あるいは患者団体等(連携する場合)の役割を具体的に記載ください。
- (n) 【1-5】 最新の「人を対象とする生命科学・医学系研究に関する倫理指針」等をもとに、具体的な研究計画を記載したプロトコールを提出してください。
- (o) 【1-5】 研究開発期間内の成果導出を求めます。疾患特性等から本研究課題終了後にも研究継続の必要性が想定される場合は、研究開発期間を超えた中長期的な計画を提出して構いません。その場合は、中長期的なマイルストーンが具体的に設定されており、本研究開発期間内の成果がマイルストーンの達成に寄与することが求められます。
- (p) 【1-5】 研究参加の同意書は、第三者利活用を可能とする記載としてください。AMEDが作成した「データの第三者提供と利活用を円滑・適正に進めるための文書」をもとに作成されている、もしくはそれに準ずる内容としてください。  
[https://www.amed.go.jp/koubo/data\\_sharing\\_template.html](https://www.amed.go.jp/koubo/data_sharing_template.html)
- (q) 【1-4】 全国規模の研究開発を可能とする研究体制を構築してください。厚労政策班や関連学会等との積極的連携を求めます。地域集積性が高い疾患の提案も可能ですが、努めて全国の患者を対象とできる研究体制を構築してください。疾患別の公募枠においても複数の疾患を対象とすることは可能ですので、研究班は統合を検討してください。
- (r) 【1-4】 研究開発期間内に診療ガイドライン等の作成・改訂が行われなかった場合は、原著論文等を成果として示してください。厚労政策班と連携する場合は、積極的に診療ガイドライン等の作成・改訂を目指す研究計画としてください。
- (s) 【1-4】 対象とする疾患に関する疾患レジストリが既に存在する場合は、当該レジストリを運営する研究者を研究体制に組み入れることで、原則統合してください。疾患レジストリを新規に構築する際には薬事申請にも応用できる機能を原則的に求めます。研究開発提案までに、具体的な構築方針を疾患レジストリ有識者と相談してください。
- (t) 【1-3】 同一もしくは非常に類似する疾患同士による複数の採択候補課題が生じた場合は、研究開

発提案に応じて統合や連携を求める場合があります。

- (u) 【2】 研究対象患者の年齢は原則 18 歳未満としてください。疾患特性に応じ 18 歳以上の患者を含めることが望ましい場合は、小児診療科と成人診療科が連携する研究体制を構築してください。適応拡大を含めた小児用医薬品の開発に資する研究開発提案を行うことは可能ですが、公募趣旨に沿ったものとしてください。
- (v) 【3】 患者数調査は可能な限り新しいものを採用してください。患者数調査が十分ではない場合は、数種類の統計データ等を用いて、推定患者数が 1,000 人未満であることを示してください。患者数算出に複数の根拠があるもしくは 1000 人をまたぐ値が算出されているなどの場合で、より少ない患者数を呈示する場合は、選択の理由を研究開発提案書に記載してください。既に一定の研究基盤が構築されている疾患は、公募趣旨に合致しているか、提案時に十分に御検討ください。過去の超希少枠公募で既に採択されている疾患と同一もしくは類似した疾患を応募した場合は、既存の採択研究班との連携・統合を求める場合があります。
- ※AMED の採択支援課題は AMED 研究開発課題データベース (AMEDfind) から検索できます。  
<https://amedfind.amed.go.jp/amed/index.html>
- (w) 【4】 採択条件の 4 疾患を選定する際は、求められる成果 (複数の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) につながるか、提案時に十分に御検討ください。疾患領域の選択は評価には影響しません。多臓器の障害が生じる小児期発症疾患は染色体・遺伝子異常に該当するか検討してください。同一疾患領域における複数の採択候補課題が提案された場合は、研究開発提案に応じて統合や連携を求める場合がありますので、あらかじめ関連学会等を通じ同一疾患領域の応募については整理を検討してください。小児診療科と成人診療科が連携する研究体制の構築を求めますが、疾患特性などで連携が不要・困難と判断した場合は、研究開発提案書にその理由を記載してください。本公募の研究開発提案における代表者および分担者が、令和 6 年度時点の AMED 難治性疾患実用化研究事業のエビデンス創出枠で採択支援されている課題 (甲) の代表者もしくは分担者として参画している場合、その課題 (甲) の研究対象疾患は本公募には含めず、採択後に必要であれば連携を検討してください。また令和 6 年度にエビデンス創出枠で採択支援されている別の研究班<sup>※</sup>が既に研究対象としている疾患と同一の疾患を、本公募の研究対象疾患に含めることは可能ですが、本公募の採択後に連携・統合を求める場合がありますので、連携を前提とした事前調整を検討ください。
- ※本公募の研究開発提案における代表者および分担者が、既存の採択支援中の研究班の代表者もしくは分担者として参画していない場合を指します。既存の AMED の採択支援課題は、AMED 研究開発課題データベース (AMEDfind) から検索できます。エビデンス創出枠は難治性疾患実用化研究事業 (ゲノム・データ基盤プロジェクト) の公募枠となります。  
<https://amedfind.amed.go.jp/amed/index.html>
- (x) 【5】 学習機構、用いるデータの詳細および入手元を明確にしてください。開発状況に応じて、製品化・事業化を目指した研究開発提案 (薬事承認取得までの治験実施準備や生産体制及び流通経路の確保等) を含めることは可能です。最新版の「プログラムの医療機器該当性に関するガイドライン」等必要な通達を参照してください。

(8) 提出が必要な書類について

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「必須」のもので該当資料がない場合は資料番号を付した紙に「該当資料無し」と記載した資料を PDF 形式で提出してください。

必須：提出がなければ不受理となる提出物。**提出すべき資料がないと判断した場合であっても、必ず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

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	e-Rad File	備考
1	必須	研究開発提案書	3章、4章		指定様式
2	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)	—		
3	該当する場合は必須	ヒト全ゲノムシーケンス解析プロトコール	4章		
4	必須	提案する研究開発課題で実施する予定の全ての試験・研究のプロトコール	—		様式自由
5	公知申請・先進医療 B・特定臨床研究に該当する場合は必須	開発候補物概要書また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	—		
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や寄与した診療ガイドライン等。過去 5 年以内で主要なもの最大 5 報まで。診療ガイドライン等については、該当部分のみを提出すること。	—	統合ファイルとして提出	

## 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

希少難治性疾患研究や薬事申請へのリアルワールドデータ利活用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

難病は、その種類が多い一方で患者数が少なく、病態の解明や個々の疾患における診断基準・重症度分類・評価手法（基準）の確立、治療法の開発のためには、臨床情報をはじめとした様々なデータを戦略的に収集し活用する必要がある。難治性疾患実用化研究事業では、平成 30 年度に「難病プラットフォーム」を開始し、情報の集約や他の研究での二次利用による新たな知見の創出を期待する情報基盤の構築を支援している。難病プラットフォームは、多くの AMED 実用化研究班と厚生労働省政策研究班から登録を受け、大規模かつ精緻な疾患レジストリ基盤の構築を為し得た。また、レジストリ基盤の利活用研究が可能であることを既に実証している。ただ、精緻なレジストリの構築や継続的な運営には規模が小さい研究班にとっては資金的に難しい現状があるため、全ての難病研究班が、可能な限り小さい負担で、レジストリを構築・継続的に運営できる基盤が求められている。

令和 3 年には厚生労働省から「レジストリデータを承認申請等に利用する場合の信頼性担保のための留意点（薬生薬審発 0323 第 2 号、薬生機審発 0323 第 2 号）」が発出され、令和 5 年度医薬関係予算案でも「薬事申請利用に向けたリアルワールドデータの品質管理・信頼性保証に係る調査及びガイドライン等の整備」が定められている。また、令和 5 年 6 月にカナダで開催された医薬品規制調和国際会議（ICH）では「医薬品の有効性に焦点を当てたリアルワールドエビデンス（RWE）の用語の国際的調和及びリアルワールドデータ（RWD）を用いた試験の計画と報告の一般原則の統合」のリフレクションペーパーが総会で承認される等、リアルワールドデータの利活用を通じた具体的な成果が期待されている。

本公募では、先行して構築された精緻な難病臨床情報の利活用を通じて創薬創出に資する成果を導出する研究班を求める。具体的な目標は、①全ての指定難病の臨床情報の格納を目指した情報基盤の更なる発展、②国内外の研究機関及び企業（以下第三者と記す、研究参加者や情報基盤に登録する研究班を含まない）がオープンかつフェアに利活用できるための体制の拡充と収益性を含む自立化（研究班の規模やデータの利用目的に応じた、競争的研究資金に依存しない情報基盤の継続的な運用体制構築）および AMED が指定するデータベース等への移管を可能とする運用体制の確立、③第三者の利活用による具体的な成果創出により、難病患者および家族・研究者・企業に貢献する情報基盤を完成させることである。

### (3) 求められる成果

- (a) 情報基盤に登録する研究班（以下登録研究班と記す）の活動目的（臨床研究、病態解明、治験等）および年度毎の利活用の詳細（運用体制、需要、実績、登録研究班や第三者の金銭的負担）を明らかにする資料。
- (b) データシェアリングの分類毎（非制限公開、制限公開、制限共有）に、年度毎の第三者の利活用実績数および利活用機関のリストを明らかにする資料。

- (c) 利活用の審査過程における透明性を示す資料（年度毎の審査実績、標準作業手順書など）。
- (d) 情報基盤で保有する情報の整理とカタログ化（データ項目や二次利用の可否等）を行ったことを示す資料。
- (e) 競争的研究資金に依存しない、臨床情報基盤の自立化を達成した資料。
- (f) 年度毎の新規および累積の共同研究機関・研究者数を国内外の研究機関及び企業別に示す資料。
- (g) 情報基盤内データとAIを含む情報技術を活用した、バイオマーカー探索や創薬プロセス革新研究等の第三者利活用を可能とする体制構築を示す資料。もしくは第三者が利活用したことを示す資料。
- (h) 企業や学会・研究者等に、第三者利活用に向けた積極的なアウトリーチ活動を行ったことを示す資料。
- (i) 登録研究班の利用状況に応じた費用負担の概算を、ホームページ等に公開していることを示す資料。
- (j) 情報基盤に登録した臨床情報が、治験での開発計画や試験デザインの検討、被験者リクルートや製造販売後調査等、第三者に利活用された具体的事例（合計6例以上）。
- (k) 第三者利活用による論文（3報以上）（研究参加者や登録研究班の研究者が、筆頭著者や責任著者になっている論文は含まない）。

#### (4) 研究開発の規模等

#	分野等	公募研究開発課題	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
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	希少難治性疾患研究や 薬事申請へのリアルワールド データ利活用に資する情報基 盤活用研究 (情報基盤活用研究)	1 課題あたり年間 40,000 千円上限 (間接経費を含まず)	最長 3 年 令和 6 年 4 月 (予定) ~ 令和 8 年度末	0~1 課題 程度

※研究開発費は予算規模により変動する場合がある。成果の達成状況により追加配賦を実施する場合がある。

※※研究開発期間はAMEDや厚生労働省の方針により、変動する場合がある。

#### (5) 採択条件 以下を満たさないと評価委員会で判断された場合は不採択となる

- (a) 以下の2つの項目に対応可能な基盤を既に保有していること。
  - 1. 医薬品等の申請等に際し電磁的記録・電子署名の信頼性を担保できる。<sup>※1</sup>
  - ※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
  - 2. 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。<sup>※2</sup>
  - ※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) 複数の疾患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を利用すること。先行研究が保有するデータを移行する場合は、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) 収集されている情報基盤の個々の症例毎の同意内容が確認できること。
- (e) 臨床情報基盤に対する登録研究班の登録初期費用・年間あたりの維持費用等を資料で示せること。
- (f) 登録研究班の利用状況に応じた費用負担の概算について、ホームページ等の公開資料で示せること。
- (g) 基盤事業として登録研究班の費用負担を可能な限り軽減する具体的な取組を説明できること。
- (h) 競争的研究資金に依存しない臨床情報基盤の出口戦略について具体的な進捗・今後の予定を示すこと。  
先行研究において既に何らかの事業化を達成している場合は、AMED研究費および登録研究班の利用



料を含め、当該事業の収支を示せること。

- (i) 引き継ぐ先行研究班がある場合は、その格納したデータについて、データシェアリングの分類毎（非制限公開、制限公開、制限共有）に、年度毎の第三者の利活用実績数および利活用機関のリストを示せること。
- (j) 利活用審査があった際には、その審査過程を公開できる透明性を有した委員会を有していること。
- (k) 情報基盤の業務に専従する人材や標準作業手順書を有している等、研究班の合理的な運営に適した事務局を有していること。
- (l) 本公募の予算を用いて構築した情報基盤を用いて、本研究参加者が本公募で求める目標や求められる成果を超えた範囲で利活用研究を行う場合は、別のAMED実用化研究班等の本研究班以外の予算で行う体制であること。
- (m) 研究班は個人情報保護法や次世代医療基盤法等の関係法令・指針に基づき、個人情報の漏えい防止対策や個人情報の暗号化等の情報セキュリティ対策を適切に実施すること。
  - (n) 研究参加の同意書は、第三者利活用を可能とする記載であること。AMEDが作成した「データの第三者提供と利活用を円滑・適正に進めるための文書」をもとに作成されている、もしくはそれに準ずる内容であること ([https://www.amed.go.jp/koubo/data\\_sharing\\_template.html](https://www.amed.go.jp/koubo/data_sharing_template.html))。
- (o) 適切なデータマネジメントプランが提出されていること。
- (p) 構築基盤の公益性の観点から、必要に応じてAMEDが指定するデータベース等に、当該基盤の情報を移動できる研究体制であること。

#### (6) 留意事項

- (a) 研究開発提案書を作成する際は、公募趣旨やAMEDにおける情報基盤研究支援の経緯等を十分に確認すること。臨床情報の第三者利活用を通じた成果導出の積み重ねと情報基盤の自立化の実現を通して、難病領域を起点に、情報基盤の意義を医学研究全般に広く示す研究班であること。
- (b) 第三者による集積データの横断的解析や新たな研究テーマの提言を可能とすること。疾患レジストリのデータ収集項目は、経時的かつ疾患横断的な解析を可能としつつ、国際共同研究や国際共同治験にも対応出来る体制とし、研究者が各疾患レジストリの品質管理を支援できる体制が望ましい。
- (c) 登録研究班の研究計画は、中央治験審査委員会や中央倫理審査委員会で審査可能な体制とすること。
- (d) 情報基盤および利活用体制の構築とその周知にあたり、患者団体・業界団体から意見の聞き取りを実施し連携すること。
- (e) 倫理的・法的・社会的課題（ELSI）に取り組む研究体制となっていること。
- (f) 研究への患者・市民参画（PPI）に取り組む研究体制となっていること。
- (g) 登録研究班の要望があれば、情報基盤に格納したデータを返却する研究体制となっていること。
- (h) 当該委託研究開発は厚生労働省が政府資金を供与して行うものであり、研究開発期間終了時に競争的資金に依存しない臨床情報基盤自立化を達成していない等、AMEDが必要と判断した場合には、委託研究開発契約に基づき当該委託研究開発に係る知的財産権を無償でAMEDに実施許諾すること。

(7) 提出が必要な書類について

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「必須」のもので該当資料がない場合は資料番号を付した紙に「該当資料無し」と記載した資料を PDF 形式で提出すること。

必須：提出がなければ不受理となる提出物。提出すべき資料がないと判断した場合であっても、必ず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

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 <sup>※</sup>	提出物	本章以外の主な参照箇所	e-rad File	備考
1	必須	研究開発提案書	3章、4章		指定様式
2		(別紙1) データマネジメントプラン (別紙2) データマネジメントプラン実施状況	7章	統合ファイルとして提出	
3	該当する場合は必須	業務委託企業の要件および選定過程を示す資料			様式自由
4		ヒト全ゲノムシーケンス解析プロトコル	3章		指定様式

## F. 希少・未診断疾患に対する診断プログラム基盤の利活用を通じた患者還元を推進する研究

### (1) 公募研究開発課題名

希少・未診断疾患に対する診断プログラム基盤の利活用を通じた患者還元を推進する研究

### (2) 背景

ゲノム医療および遺伝子解析技術の向上に伴い、約 10,000 種類存在すると推定されている単一遺伝子疾患のうち、すでに約 7,000 疾患はその原因遺伝子が同定されたが、残る 3,000 種類余りは依然としてその原因遺伝子が確定しておらず、未診断疾患とされている。難治性疾患実用化研究事業は 2015 年から未診断疾患イニシアチブ（Initiative on Rare and Undiagnosed Disease : IRUD）を支援しており、網羅的ゲノム解析と精緻な臨床的検討を組み合わせることで、未診断疾患の患者の 40%以上において疾患を絞り込み、当該領域における網羅的ゲノム解析の有用性を示した。一方で、2018 年に AMED が推測した未診断疾患の国内家系数に比べ IRUD が疾患を絞り込んだ家系数はまだ少なく、全ての希少・未診断疾患の疾患を絞り込むためには、更なる技術革新および国内基盤の発展が求められる。

多数の未診断家系に網羅的ゲノム解析を行うと、他の家系に共通の原因を見い出せず、得られた新規バリエーション（遺伝子変異）の病原性が定義できない家系もみられる。この課題の解決のために、2018 年からモデル動物を用いて、新規バリエーションの病原性評価を行い、さらには病態解明研究を行うモデル生物コーディネーティングネットワークプロジェクトを開始し、新規疾患の発表等多数の共同研究に基づく成果を導出した。さらには、海外の希少難病データベースとのデータシェアリングを推進し、国際共同研究においても多数の成果を導出している。今後は既に構築した効率的な運営体制および国内基盤を活用し、基礎研究を含む様々な分野との連携を強化することで、疾患確定の加速や、検出した新規バリエーションおよび機能解析研究の推進、創薬シーズの創出が求められる。

IRUD は、日本全国の希少・未診断疾患患者の診断を目指す体制の構築を通じて、解析結果を患者に還元する等、多くの重要な成果を達成している。しかし国内には病名の絞り込みに至らない希少・未診断疾患患者がまだまだ多数存在し、結果返却までの期間短縮や治療法に資する創薬シーズ創出においてもまだまだ多くの研究課題が残されている。そこで、本公募では以下の「(3) 求められる成果」の達成を目標とする研究班を求める。

### (3) 求められる成果（成果は共同研究を含めることを認める）

1. 希少・未診断疾患の診断のための体制の拡充。具体的には、研究結果を適切に還元又は利活用する体制を、研究開発期間内で拡充し、標準化可能な部分について作業手順書を作成したことを示す資料。
2. 希少・未診断疾患の診断のための保健医療行政との連携。具体的には、臨床診断の難しい指定難病について、ゲノム解析を通じて保険診療に寄与するエビデンスを創出したことを示す資料（genotype-phenotype correlation の解明等）。
3. 希少・未診断疾患の迅速かつ合理的な絞り込みの為に、情報処理基盤を構築したことを示す資料。検出したバリエーションの解析パイプラインを合理的な範囲で整理・統合したことを示す資料。モデル生物や培養細胞を用いた研究において、検出されたバリエーションに対する研究の目的（迅速な病因性の評価、病態解明研究）と手段（適切なモデル生物や培養細胞等の実験系選択）に応じ作成した標

準作業手順書。疾患の合理的な絞り込みのための情報処理基盤は既に構築済みのものを利用することを認めるが、その場合は当該基盤を用いて構築した解析パイプラインを示すこと。

4. 同定された病因性バリエントに基づく病態解明研究の開発推進および創薬シーズの創出を通して、希少・未診断疾患の克服に向けた国際連携を含む日本独自のイニシアチブの発揮を示す資料。同定された新規疾患原因遺伝子やバリエントについて当該研究領域（例：モデル生物や培養細胞等）の専門家と適切に連携する体制を構築したことを示す資料。またその連携に基づき機能解析や病態解明研究を実施したことを示す資料およびそれらの研究から得られた成果が診断法もしくは治療の開発につながる創薬シーズとなったことを示す資料。

#### (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	新規採択課題予定数
F	希少・未診断疾患に対する診断プログラム基盤の利活用を通じた患者還元を推進する研究	希少・未診断疾患に対する診断プログラム基盤の利活用を通じた患者還元を推進する研究	1 課題あたり年間 600,000 千円上限 (間接経費を含まず)	最長 4 年 令和 6 年 4 月 (予定) ~ 令和 9 年度末	0~1 課題 程度

※研究開発費の規模及び新規採択課題予定数等の留意事項は、本公募要領の第 3 章を十分に御確認ください。

#### (5) 採択条件 以下を満たさないと評価委員会で判断された場合は不採択となる

- (a) これまでに IRUD が構築した研究基盤を引き継ぐことが可能な研究計画であること。
- (b) 研究結果の患者還元体制が構築されていること。
- (c) データ解析およびデータ・検体格納の拠点施設が構築されていること。
- (d) 適切な情報セキュリティ管理体制が構築されていること。
- (e) 透明性のある運営体制（事務局機能、患者の研究参加基準、研究班の意思決定プロセス、研究者間の連携や情報共有、患者還元の手法等）を有していること。
- (f) 希少・未診断疾患の迅速かつ合理的な絞り込みの為に、研究開発期間内に情報処理基盤を構築する計画となっていること。疾患の合理的な絞り込みのための情報処理基盤は既に構築済みのものを利用することを認めるが、その場合は当該基盤を用いて構築した解析パイプラインを示すこと。
- (g) 研究班は合理的な運営のために基盤事業の業務に専従する適当な規模の事務局を有していること。
- (h) 迅速な疾患絞り込みおよび検出バリエントに関する機能解析研究を当該領域の専門家（例：モデル生物や培養細胞等）と適切に連携し、実施する研究計画であること。解析結果に応じて、病態解明研究や創薬シーズ探索研究を実施できる研究計画であること。
- (i) 共同研究を可能とする体制が構築されていること。研究で得られた知見や課題について、AMED 難治性疾患実用化研究事業が支援している他研究班や厚生労働省の政策研究班、関連学会等と連携し、さらなる研究や検討を行うことが可能な体制であること。ただし、適切な連携先がない場合はその限りではない。
- (j) 適切なデータマネジメントプランが提出されていること。
- (k) 研究参加の同意書は、第三者利活用を可能とする記載であること。AMED が作成した「データの第三者提供と利活用を円滑・適正に進めるための文書」をもとに作成されている、もしくはそれに準ずる内容であること ([https://www.amed.go.jp/koubo/data\\_sharing\\_template.html](https://www.amed.go.jp/koubo/data_sharing_template.html))。

- (l) 構築基盤の公益性の観点から、必要に応じて公的データベースもしくはAMEDが指定するデータベースに、当該基盤の情報を移動できる研究体制であること。

(6) 留意事項

- (a) 公募要領を熟読の上で研究開発提案を行うこと。研究開発代表者は、希少・未診断疾患の患者・家族が抱える課題克服に寄与することを最優先に考え、研究を遂行すること。
- (b) 研究で得られた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、厚生労働省が進めている難病に対する医療提供体制の整備の方向性を注視し、診療体制との連携および研究体制の段階的な移行について検討できる研究体制が構築されていること。
- (c) 希少・未診断疾患患者に向けた未実装の疾患特定技術は、領域を問わず適切に順次実装できる研究体制が構築されていること。
- (d) 希少・未診断疾患患者の研究参加の機会を確保するために、かかりつけ医や都道府県医師会等とも適宜連携することが望ましい。
- (e) 最新版の「AMEDにおける研究開発データの取扱いに関する基本方針、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」に基づき適切なデータシェアリングを行うこと。  
<https://www.amed.go.jp/koubo/datamanagement.html>
- (f) モデル生物や培養細胞の研究者を取りまとめる1名以上の責任者が、研究班運営に適切に参画すること。各研究者との連携拡充の為に積極的な新規参入の奨励と、既に実績を上げている研究者の支援継続を両立することが望ましい。
- (g) 研究成果の公表等にあたっては患者・家族、かかりつけ医や大学病院等の医師、看護師、研究者、遺伝カウンセラー等の診療スタッフや研究支援者等、当該研究に参加する全ての方がそれぞれ不可欠な貢献を行っていることに着目して、その貢献を重要視し、敬意を表すること。
- (h) 倫理的・法的・社会的課題(ELSI)に取り組む研究体制となっていること。
- (i) 研究への患者・市民参画(PPI)に取り組む研究体制となっていること。  
当該委託研究開発は厚生労働省が政府資金を供与して行うものであり、AMEDが必要と判断した場合には、委託研究開発契約に基づき当該委託研究開発に係る知的財産権を無償でAMEDに実施許諾すること。

(7) 提出が必要な書類について

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「必須」のもので該当資料がない場合は資料番号を付した紙に「該当資料無し」と記載した資料を PDF 形式で提出すること。

必須：提出がなければ不受理となる提出物。提出すべき資料がないと判断した場合であっても、必ず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

(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	e-rad File	備考
1	必須	研究開発提案書	3章、4章		指定 様式
2		(別紙1) データマネジメントプラン (別紙2) データマネジメントプラン実施状況	7章	統合ファイル として提出	
3		全体の運営体制およびモデル生物や培養細胞の研究者との連携を示した概要図およびその具体的な運用スキーム案	-		様式 自由
4	該当する場合は必須	ヒト全ゲノムシーケンス解析プロトコール	3章		指定 様式

## 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

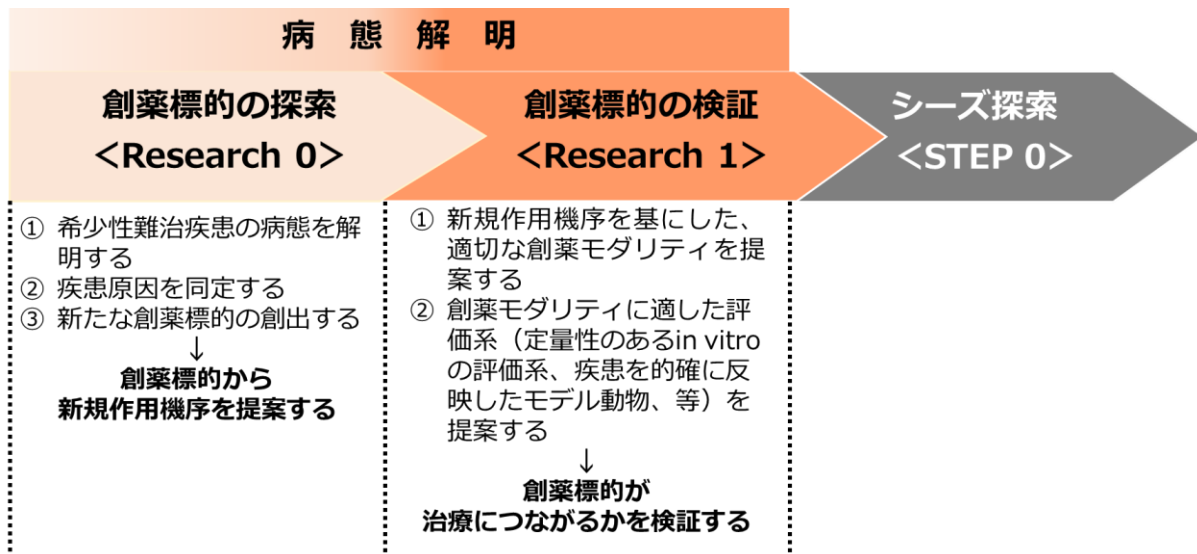
G-1.希少難治性疾患の病態解明による創薬標的の探索 (病態解明・Research 0)

G-2.希少難治性疾患の病態メカニズムに基づいた創薬標的の検証 (病態解明・Research 1)

### (2) 背景及び目標

発病の機構が不明で根治に至る治療法が未確立な疾患である希少難治性疾患に対して、新たな探索・同定による画期的な治療法や診断法を開発するためには、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等を活用した研究が重要である。また、実用化を目指すためには、創薬標的に対する作用機序 (MoA : Mode of Action) を確認した上で、次のステップに進むために必要な検討も重要になってくる。

これらの点を踏まえて「G-1.希少難治性疾患の病態解明による創薬標的の探索 (病態解明・Research 0)」では希少難治性疾患の病態を解明することで新たな創薬標的の創出し、新規作用機序 (MoA) を提案することを目的とする。「G-2.希少難治性疾患の病態メカニズムに基づいた創薬標的の検証 (病態解明・Research 1)」では、新規作用機序 (MoA) を基にした、適切な創薬モダリティで創薬標的に対する作用機序 (MoA) を確認することで治療につながることを検証する。加えて、研究開発終了後に当事業の医薬品ステップあるいは再生等ステップへの応募を目標とする。Research 0、Research 1 とともに、新規作用機序 (MoA) による画期的な診断・治療・予防法の開発を推進する。



### (3) 求められる成果

- 研究期間中の画期的発見が研究期間終了後に、「G-1.希少難治性疾患の病態解明による創薬標的の探索 (病態解明・Research 0)」では対象疾患の病態の解明、疾患原因の同定、創薬標的の創出、新規作用機序 (MoA) の提案、あるいは創薬標的を反映した診断に寄与する新たなバイオマーカー等を提案すること。

「G-2.希少難治性疾患の病態メカニズムに基づいた創薬標的の検証 (病態解明・Research 1)」では、創出された創薬標的において、適切な創薬モダリティで作用機序 (MoA) を確認し、新規作用機序 (MoA) が治療に繋がることを証明することで、本事業の医薬品ステップあるいは再生等ステップへのステージアップを提案すること。適切な創薬モダリティとは低分子化合物、核酸医薬、環状ペプチド、抗体、細胞医療、遺伝子治療などとする。

- 診断・治療・予防法の開発につながる画期的な発見を示す資料。(特許出願や原著論文、国際データシェアリング登録、及び関連学会での発表)

#### (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
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による創薬標的の探索 (病態解明・Research 0)	1 課題あたり年間 10,000 千円(上限) (間接経費を含まず)	最長 3 年 令和 6 年 4 月 (予定) ~ 令和 8 年度末	0~6 課題 程度
G-2		希少難治性疾患の病態メカニズムに基づいた創薬標的の検証 (病態解明・Research 1)	1 課題あたり年間 15,000 千円(上限) (間接経費を含まず)	最長 3 年 令和 6 年 4 月 (予定) ~ 令和 8 年度末	0~4 課題 程度

#### (5) 採択条件

##### 【共通】

- 研究開発提案は本事業で規定する希少難治性疾患（対象疾患に関しては第 1 章 1.1 事業の概要（6 頁）を参照のこと）の克服を目指す事を念頭にした病態解明研究であること。
- 動物モデルあるいは細胞モデルなどの疾患モデルを使って病態解明研究を行う際には、その疾患モデルが本事業で対象とする希少難治性疾患に特異的なモデルであることを研究開発提案書で示すこと。他の疾患モデルを使用する場合には、その妥当性を示すこと。
- 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再生・細胞医療・遺伝子治療の実用化に関する研究」に繋がることを目指す研究提案であること。
- 研究開発代表者は研究開発を実施するに当たり、当該研究開発課題に配分されるエフォート率は契約開始後原則 1 年間は 20%以上であること。応募時点で e-Rad に登録されたエフォート (%) が 20%であることを必須とします。
- 一人の研究者が研究代表者として同一疾患で応募する場合、下記の公募研究開発課題名は重複応募不可（1 つの研究課題にのみ応募可能）です。

「G-1.希少難治性疾患の病態解明による創薬標的の探索（病態解明・Research 0）」

「G-2.希少難治性疾患の病態メカニズムに基づいた創薬標的の検証（病態解明・Research 1）」

「A-1.医薬品のシーズ探索研究（医薬品ステップ 0）」

「A-2.超希少難治性疾患に対する医薬品のシーズ探索研究（医薬品ステップ 0・超希少）」

「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）」

##### 【各公募研究開発課題名の採択条件】

- 「G-1.希少難治性疾患の病態解明による創薬標的の探索（病態解明・Research 0）」は研究提案内容が新たな創薬標的を創出し、新規作用機序（MoA）の提案を目的としていること。
- 「G-2.希少難治性疾患の病態メカニズムに基づいた創薬標的の検証（病態解明・Research 1）」は応募時に創薬モダリティが提案できていること。



## (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) 提案する研究開発課題の内容が本事業の事業趣旨、目標等に合致しているかを、第 1 章 1.1 事業の概要 (6 頁)、第 4 章 4.1.3 提案書類の様式及び作成上の注意 (22 頁)、及び第 5 章 5.2.2 審査項目と観点 (32 頁) を確認した上で、研究開発提案書を作成し、応募すること。
- 2) 第 5 章 5.2.2 審査項目と観点 (32 頁) に関連する第 4 章及び第 1 1 章を確認の上応募すること。
- 3) 研究開発提案書の作成に当たっては、第 2 章 2.1 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 (8 頁)、に記載されている注意事項 (1) ~ (12) も考慮すること。
- 4) 「G-2.希少難治性疾患の病態メカニズムに基づいた創薬標的の検証 (病態解明・Research 1)」では、創出された創薬標的において、適切な創薬モダリティで作用機序 (MoA) を確認し、新規作用機序 (MoA) が治療に繋がることを証明することで、本事業の医薬品ステップあるいは再生等ステップへのステージアップを提案できる研究開発課題を採択する。加えて、研究開発提案書に創薬モダリティが記載できること。
- 5) 「G-2.希少難治性疾患の病態メカニズムに基づいた創薬標的の検証 (病態解明・Research 1)」では、提案時に作用機序 (MoA) を定量的に評価できる評価系を持っていることを示すか、研究開発期間中に開発する場合はその開発手法を示すこと。
- 6) AMED のホームページ※に掲載されている本事業で扱う研究内容を確認し、本事業で扱う他の研究分野の研究が含まれていない病態解明に特化した提案を行うこと。  
※<https://www.amed.go.jp/program/list/11/02/003.html>
- 7) 研究の対象となる疾患名及び国内外の罹患患者数を明記 (不明の場合は不明と記載) し、研究計画の目的、革新的や独創的な研究がどのように本事業の実用化研究につながるか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。
- 8) 研究開発提案書の背景及び概要説明で提案根拠として、論文参照番号をつけて明記して引用すること。使用した論文から主要な論文を最大 5 報抽出し、記載参照番号順に研究業績として概要欄に記載し、業績との関係性がわかるように紐付けること
- 9) 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ーンを設定し、ロードマップを明示すること。
- 10) 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。
- 11) 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。研究開発を効果的に進める上で、学際的な体制、異分野融合研究を推進していること、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。
- 12) 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。）

○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<sup>※1</sup>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3年度 難治性疾患政策研究事業 研究課題一覧表」<sup>※2</sup>を確認すること。 ※2 <https://www.nanbyou.or.jp/entry/19899>

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）<sup>※3</sup>へ伝え、相談すること。

※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。

- 2) 医薬品、再生・細胞医療・遺伝子治療の実用化に繋がる研究を実施する課題では、研究研究の進展度に応じて、研究期間中に本事業の実用化研究(次のステップ)を目指した Target Product Profile の進捗状況を求めることがある。Target Product Profile を作成する際には、創薬科学や毒性・安全性や動態等の創薬の専門家とも連携がとれていることが望ましい。
- 3) 新型コロナウイルス感染症等の蔓延、天災、災害に関連した組織 BCP（Business Continuity Plan）に応じて、研究推進のリスク評価、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。

(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

※1 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

※2 「統合ファイルとして提出」と記載されている資料については、該当資料の右上に資料番号を明示し、適宜結合した上で PDF 形式で提出すること。

※3 研究開発提案書の背景及び概要で提案根拠として引用した論文で、研究業績に記載した主要な論文を最大 5 報を添付すること

※4 ヒト全ゲノムシーケンス解析を実施する場合、ヒト全ゲノムシーケンス解析プロトコル様式の提出すること（必須）。シーケンスデータやプロトコル情報の詳細については、第 3 章の応募要件（第 3 章 3.2.7）の記載を参照すること。

資料番号	資料の位置づけ※1	提出物	本章以外の主な参照箇所	e- Rad File※2	備考
1	必須	研究開発提案書	3 章、4 章	-	指定様式
2	任意	研究開発提案書の背景及び概要で提案根拠として引用した論文で研究業績に記載した主要な論文を最大 5 報、寄与した臨床指針・ガイドラインのうち、主なもの・最新のものの版の本文	-※3	統合ファイルとして提出	
3	該当する場合は必須	ヒト全ゲノムシーケンス解析プロトコル様式	3 章※4	-	指定様式 (ヒト全ゲノムシーケンス解析を実施する場合のみ必須)
4	任意	提案する研究開発課題で実施する実験、研究に関する非臨床試験プロトコル等（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）又はプロトコル概要等	-	統合ファイルとして提出	様式自由



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5年11月

代表と分担の研究機関と研究者の表記  
 (研究体制図の雛型ではありません)

別表

【研究開発担当者】 =  
 それぞれの機関の研究者の代表者

注：一部直接契約の分担  
 研究機関がある

