



国立研究開発法人 日本医療研究開発機構
Japan Agency for Medical Research and Development

臨床研究・治験推進研究事業 令和6年度 2次公募説明資料

創薬事業部 規制科学推進課

1. 臨床研究・治験推進研究事業について
2. 令和6年度2次公募の公募研究開発課題について
3. 公募・審査のスケジュールについて（予定）
4. 申請にあたっての留意事項について
5. 選考・審査方法について

1. 臨床研究・治験推進研究事業について

■AMED統合プロジェクトにおける位置づけ

1. 医薬品プロジェクト

← 臨床研究・治験推進研究事業
はこのPJに含まれます。

2. 医療機器・ヘルスケアプロジェクト

3. 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト

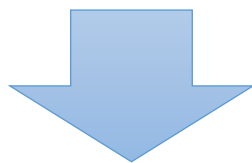
4. ゲノム・データ基盤プロジェクト

5. 疾患基礎研究プロジェクト

6. シーズ開発・研究基盤プロジェクト

【臨床研究・治験の課題】

- 希少疾患や小児領域等を対象とした医薬品は、医療ニーズは高いものの、対象患者の特殊性等から、採算性が低く、製薬企業が開発することが難しい
- 近年、アルツハイマー病を対象とした我が国発の疾患修飾薬が、国内外で薬事承認される等、国際競争が激化する中、我が国の基礎研究の成果を認知症治療薬の実用化に繋げるために、薬事承認を目指した臨床研究・治験の実施が重要になってきている。
- 革新的医薬品の開発は成功確率が低い一方で、開発コストは年々増加している等・・・



本事業では、**日本で見出された基礎研究の成果を薬事承認に繋げ、革新的な医薬品の創出**等を目指して、臨床研究や治験の更なる活性化を目的とした研究を支援します。

競争的資金の効率的な活用、及び優れた成果を生み出していくための円滑な事業実施を図るため、**プログラムスーパーバイザー（PS）**、**プログラムオフィサー（PO）**を配置しています。

PS及び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、中止等を行うことがあります。

PS :

中西 洋一（北九州市立病院機構 理事長 /九州大学名誉教授）

PO :

佐藤 典宏（北海道大学病院 医療・ヘルスサイエンス研究開発機構 機構長 / 教授）

牧江 俊雄（国立病院機構 鈴鹿病院臨床研究部 部長）

2. 令和6年度2次公募の公募研究開発課題について



公募要領 P.4

No.	分野等、公募研究課題名		研究開発費の規模 (間接経費含まず)	研究開発 実施予定期間	新規採択課 題 予定数
患者のニーズに応える医薬品開発に資する臨床研究・治験の推進					
1	疾患登録システム（患者レジ ストリ）を活用した臨床研 究・医師主導治験の推進 【実施（ステップ2）】	特定臨床研究・医師主導治験 の実施	1課題当たり年間 50,000千円（上 限）	令和6年8月 ～ 令和9年度末	0～1課題程 度
2-1	認知症治療薬の薬事承認を目指 した臨床研究・治験の推進	臨床研究・治験の開始準備に 関する研究 【準備（ステップ1）】	1課題当たり年間 45,000千円（上 限）	令和6年8月 ～ 令和8年度末	0～2課題程 度
2-2		既に作成済みのプロトコール に基づいて実施する特定臨床 研究・治験の推進 【実施（ステップ2）】	1課題当たり年間 80,000千円（上 限）	令和6年8月 ～ 令和10年度末	0～2課題程 度

疾患登録システム（患者レジストリ）を活用した臨床研究・医師主導治験の推進【実施（ステップ2）】



公募要領 P.5~P.9

No.	分野等、公募研究課題名		研究開発費の規模 (間接経費含まず)	研究開発 実施予定期間	新規採択課題 予定数
患者のニーズに応える医薬品開発に資する臨床研究・治験の推進					
1	疾患登録システム（患者レジストリ）を活用した臨床研究・医師主導治験の推進【実施（ステップ2）】	特定臨床研究・医師主導治験の実施	1課題当たり年間 50,000千円（上限）	令和6年8月 ～ 令和9年度末	0～1課題程度
2-1	認知症治療薬の薬事承認を目指した臨床研究・治験の推進	臨床研究・治験の開始準備に関する研究【準備（ステップ1）】	1課題当たり年間 45,000千円（上限）	令和6年8月 ～ 令和8年度末	0～2課題程度
2-2		既に作成済みのプロトコールに基づいて実施する特定臨床研究・治験の推進【実施（ステップ2）】	1課題当たり年間 80,000千円（上限）	令和6年8月 ～ 令和10年度末	0～2課題程度

○目標

研究者・大学・学会・ナショナルセンター等が既に構築している患者レジストリを効果的に活用し、被験者リクルートや試験対照群に応用する等、効率的な特定臨床研究・医師主導治験を実施することで、早期の薬事承認を目指します。

疾患登録システム（患者レジストリ）を活用した臨床研究・医師主導 治験の推進【実施（ステップ2）】



公募要領 P.5~P.9

- 研究期間
令和6年8月～令和9年度末（最長）
- 求められる成果
特定臨床研究・医師主導治験の実施及び総括報告書等の提出、企業への導出

○主な採択条件

- 活用予定の患者レジストリが**既に構築されていること**（提案する特定臨床研究・医師主導治験の遂行に必要な**患者レジストリの改修を伴う提案も、本公募の対象**とします）
- 活用する患者レジストリは、課題提案時点で、**患者レジストリ検索システムに登録済み又は登録予定であること**
- 研究開発提案時に、プロトコルを提出可能であること（提案時にプロトコルが未完成の場合、プロトコル骨子でも応募可とします）（実施中の特定臨床研究・医師主導治験についても応募可）
- 医薬品レジストリ活用相談の対象であるレジストリ保有者が特定臨床研究・医師主導治験を実施する場合で、医薬品レジストリ活用相談実施の要件を満たす場合は、研究開発提案時までにPMDAが実施する対面助言を受け、PMDAに開発方針を否定されていないこと。
- 早期に特定臨床研究・医師主導治験を開始できるよう、効率的かつ実行性を考慮したスケジュールが立てられていること。

※提案書（様式1）の1ページ目に、患者レジストリ検索システム登録有無のチェックボックスがありますので、**忘れずにチェック**してください。

【留意事項】

- 研究開発提案時点で1度も対面助言を受けていない場合は、**研究実施初年度内のできるだけ早期に**対面助言を受けるよう、スケジュールを立ててください（ただし、対面助言の対象とならない場合や、対象となっても実施の要件を満たさない場合を除く）。
- 研究開発提案時点でプロトコルが未完成の場合は、**プロトコル完成までのスケジュール、IRB・CRB・倫理審査委員会への申請、治験届提出等、研究開発項目ごとのマイルストーン及び達成時期**を可能な限り具体的に記載してください。
- 企業と連携している場合には、企業の役割を研究開発提案書に記載してください。研究開発提案時に企業との連携がない又は交渉中の場合は、研究開発期間終了時までどのようにして企業と連携していくのかを研究開発提案書に記載してください。

認知症治療薬の薬事承認を目指した臨床研究・治験の推進



公募要領 P.9~P.14

No.	分野等、公募研究課題名	研究開発費の規模 (間接経費含まず)	研究開発 実施予定期間	新規採択課 題 予定数	
患者のニーズに応える医薬品開発に資する臨床研究・治験の推進					
1	疾患登録システム（患者レジ ストリ）を活用した臨床研 究・医師主導治験の推進 【実施（ステップ2）】	特定臨床研究・医師主導治験 の実施	1課題当たり年間 50,000千円（上 限）	令和6年8月 ～ 令和9年度末	0～1課題程 度
2-1	認知症治療薬の薬事承認を目指 した臨床研究・治験の推進	臨床研究・治験の開始準備に 関する研究 【準備（ステップ1）】	1課題当たり年間 45,000千円（上 限）	令和6年8月 ～ 令和8年度末	0～2課題程 度
2-2		既に作成済みのプロトコール に基づいて実施する特定臨床 研究・治験の推進 【実施（ステップ2）】	1課題当たり年間 80,000千円（上 限）	令和6年8月 ～ 令和10年度末	0～2課題程 度

○目標

(ステップ1)

研究開発提案時点で国内未承認の有効成分を含有する医薬品、又は国内既承認の医薬品で、新たな効能・効果、用法・用量での認知症治療薬としての薬事承認を目指す研究で、非臨床POC取得済みの研究開発課題を対象とします。研究期間内に臨床試験を開始するための準備（GLP非臨床試験の実施、治験薬の製造、プロトコール作成、PMDA相談等）の完了が見込まれる課題を支援します。

(ステップ2)

認知症を対象として既にプロトコールが作成済みであるものを募集対象とし、科学性・倫理性が十分に担保された質の高い特定臨床研究・治験を実施し、薬事承認に向けた企業への導出又は次の段階へ繋げることを目標とします（提案時にプロトコールが未完成の場合、プロトコール骨子でも可とします）。本公募研究開発課題では、研究開発提案時点で国内未承認である医薬品（海外での薬事承認の有無は問わない）の認知症治療薬としての薬事承認、あるいは、国内既承認の医薬品の認知症治療薬としての新たな効能・効果での薬事承認（承認事項一部変更承認）を目指します。

* 実施する治験のステップ（相）は問いませんが、第Ⅲ相試験の場合は大学等あるいは中小企業が主体となって実施されるものを対象とします。本公募での採択後に中小企業の要件を満たさなくなった場合には支援の対象外となります。

○研究期間

ステップ1：令和6年8月～令和8年度末まで（最長）

ステップ2：令和6年8月～令和10年度末まで（最長）

○求められる成果

ステップ1：特定臨床研究・治験実施にあたって求められるGLP非臨床試験の実施、治験薬の製造・確保、PMDAの合意を得られたプロトコルの作成

ステップ2：特定臨床研究・治験の実施及び総括報告書等の提出

○主な採択条件（ステップ1）

- 開発対象物が医薬品医療機器等法における医薬品であること
- 認知症治療薬候補としての非臨床POCを取得済みで、実用化に結びつくような医薬品であり、社会的な価値、科学的妥当性、成果達成の可能性が明確であること
- 実行性の高いプロトコルが作成できるような支援体制が構築されていること
- 実行性の高いプロトコルを研究開発期間内に作成できるよう、効率的なスケジュールが立てられていること

○主な採択条件（ステップ2）

- 開発対象物が医薬品医療機器等法における医薬品であること
- 研究開発提案時にプロトコルを提出可能であること（提案時にプロトコルが未完成の場合、プロトコル骨子でも可とします）
- 医師主導治験について、研究開発提案時までPMDAが実施する対面助言を受けている場合、PMDAに開発方針を否定されていないこと。なお、研究開発提案時までに対面助言を受けていることは必須ではありません。
- 採択後に開始する特定臨床研究・治験については、早期に開始できるよう、効率的かつ実行性を考慮したスケジュールが立てられていること
- 研究開発提案から医薬品の薬事承認までの全体の工程表（ロードマップ）を作成し、研究開発提案する研究がどの位置づけになるかが明示されていること
- 特定臨床研究・治験において必要な症例数を確保するための具体的な方策が提示されていること
- 登録症例数については、生物統計家の意見を取り入れ、設定根拠を明確に示せるものであること

3. 公募・審査のスケジュールについて（予定）



公募要領 P.33

- 公募期間（応募期限）

令和6年3月21日（木）～令和6年4月19日（金） 12時（厳守）

- 書面審査 令和6年4月下旬～令和6年5月中旬

- ヒアリング審査 令和6年6月7日（金） 予定

※ヒアリング審査を実施する場合は、ヒアリング審査対象となる課題の「研究開発代表者」に対して、原則として[ヒアリングの1週間前まで](#)に電子メールにてご連絡します。

- 採択可否の通知 令和6年7月上旬（予定）

- 研究開発開始（契約締結等） 令和6年8月上旬（予定）

4. 申請にあたっての留意事項について

**提案書類に不備・不足がある場合、受理しないことがあります。
詳細は公募要領を確認してください。**

- 応募されるテーマにより、必要書類が異なります。
- 提案書作成に際しては、提案書内の青字の記載例、緑字の説明文を参照してください。
- 書類提出はe-Rad上でアップロードしていただきます。
- e-Radではアップロードできる書類数に制限があるため、一部の書類は複数のファイルを結合して提出していただく必要があります。e-Radに詳細に記載していますので、ご確認ください。

応募時の主な書類の要否



○：必須 △：任意 -：不要

	1. レジストリ活用研究【実施（ステップ2）】	2. 認知症治療薬の薬事承認を目指した臨床研究・治験の推進	
	特定臨床研究・医師主導治験の実施	2-1. 臨床研究・治験の開始準備に関する研究【準備（ステップ1）】	2-2. 既に作成済みのプロトコルに基づいて実施する特定臨床研究・治験の推進【実施（ステップ2）】
（様式1）研究開発提案書	○	○	○
（様式2）承諾書※1	○	○	○
（別紙1）プロトコル（又は骨子）	○	-	○
（別紙2）薬事承認までの工程表	○	○	○
対面助言記録※2	○	-	○
企業との連携状況を示す書類	△	-	△
研究マネジメントに関するチェック項目記入表	○	○	○

※1： 承諾書は分担機関がある場合のみ必須

※2： 医師主導治験のうち、対面助言が実施された場合のみ必須

- 臨床試験（医師主導治験または臨床研究）の実施に関する公募区分に応募される提案者は、「チェック項目記入表」の提出が必須となります。

※医薬品開発の研究マネジメントに関してのチェック項目について

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

- また、AMEDでは、全ての委託研究開発事業の契約締結時及びAMEDが指定する一部の補助事業（医療分野の研究開発の助成を行うもの。環境整備のみを助成するものは含まない。）の交付申請時に、データマネジメントプランの提出を義務化しています。

提案書類のe-Radのアップロード方法について



【様式1】研究開発提案書、【様式2】承諾書、（別紙1）プロトコールを結合してe-Radにアップロードしてください。

その他の書類は、そのままアップロードしてください。

公募要領における研究開発費の表記について
～～記載の金額は**直接経費**です～～

(例) 研究開発費40,000千円（間接経費を含まず）の場合

- ✓ 上記金額は**直接経費のみ**の金額。
- ✓ 上記金額に間接経費を加えた金額が研究開発費総額となるため、**代表機関・研究分担機関に配分予定の間接経費を算出**して計上してください。
- ✓ 間接経費の割合は研究機関によって決められています（**上限30%**）。

(計算例)

代表機関の配分額を直接経費として30,000千円（間接経費20%）、
分担機関の配分額を直接経費として10,000千円（間接経費30%）の場合

$$30,000 \text{千円} + (30,000 \text{千円} * 0.2) + 10,000 \text{千円} + (10,000 \text{千円} * 0.3) = \text{研究開発費総額 } 49,000 \text{千円}$$

- 同じ時期にAMEDの他研究事業がある場合、同じ研究課題について当事業との**重複応募は可能**です。
- ただし、**重複採択は不可**ですので、どちらかに採択された際は速やかに報告していただく必要があります。

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

- 提案書「応募中の研究費」の理由記載箇所には、「重複応募につき、他の競争的資金制度等に採択された場合には速やかに報告します」等の記載をしてください。
- 研究計画と研究費を切り分けて**2事業に応募する場合には、当該箇所に本事業と他事業の相違点を記載**してください。

臨床研究法の施行により、「臨床研究」の実施にあたっては、「**臨床研究実施計画・研究概要公開システム**」：jRCT（Japan Registry of Clinical Trials）への**登録や疾病等報告などの対応が必要**となります。法令遵守の上、適切な対応をお願いします。

治験についてもjRCTに登録してください。

5. 選考・審査方法について



公募要領 P.33～P.36

- ✓ 採択に当たっては、実施の必要性、目標や計画の妥当性を把握し、予算等の配分の意思決定を行うため、**外部の有識者等**の中からAMED理事長が指名する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（非公開）は、**必要に応じてヒアリング（令和6年6月7日（金））**を行います。
- ✓ 課題評価委員会は、定められた評価項目について評価を行い、**AMEDはこれをもとに採択課題を決定**します。

- ※ **審査の過程で追加資料を求める場合もあります。**
- ※ **審査結果等を踏まえ、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。**
- ※ **審査の途中経過についての問い合わせには応じられません。**

■ 書面審査及びヒアリングの評価項目

公募要領 P.33～P.36

評価項目	評価の観点
(A) 事業趣旨等との整合性	<ul style="list-style-type: none">・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	<ul style="list-style-type: none">・独創性、新規性を有しているか・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・医療分野の研究開発の進展に資するものであるか・新技術の創出に資するものであるか
(C) 計画の妥当性	<ul style="list-style-type: none">・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

事前評価の評価項目(2)



■ 書面審査及びヒアリングの評価項目

公募要領 P.33～P.36

評価項目	評価の観点
(D) 実施体制	<ul style="list-style-type: none">・研究開発責任者を中心とした研究開発体制が適切に組織されているか・現在の技術レベル及びこれまでの実績は十分にあるか・十分な連携体制が構築されているか・主要な研究参加者のエフォートは適当であるか
(E) 所要経費	<ul style="list-style-type: none">・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	<ul style="list-style-type: none">・生物統計学の専門家が関与しているか・薬事専門家が関与しているか・企業への導出や実用化が期待できる計画であるか
総合評価	(A) ～ (F) を勘案して総合的に評価する。

研究への患者・市民参画（PPI）

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※（PPI：Patient and Public Involvement）の取組を促進します。**PPIの取り組みについては研究開発提案書の「本研究開発課題を実施する上で特に考慮すべき事項等」に記載してください。**

※AMED のウェブサイト

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



ヒト全ゲノムシーケンス解析プロトコールに関する方針について



公募要領 P.19～P.21

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

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

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

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

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

- ライブラリー作成（キット名、断片長等）
- シーケンス反応（キット名、リード長等）
- 解析装置の機種名（機種名・型番等。外注の場合は外注先も記入）
- クオリティコントロール（QC）の方法
- リファレンスゲノムとのマッピング及びアSEMBルの方法

※ 全ゲノムシーケンス解析

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

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

※ ヒト全ゲノムシーケンス解析プロトコール様式

お問合せ先



日本医療研究開発機構（AMED）
創薬事業部 規制科学推進課
「臨床研究・治験推進研究事業（CRT事業）担当」

E-mail: rinsho-crt"AT"amed.go.jp
["AT"は@（半角）にしてください]

※お問合せはメールでお願いいたします。

AMEDホームページURL : <https://www.amed.go.jp/>