令和6年11月1日

医薬品等規制調和・評価研究事業
令和７年度 公募説明資料

日本医療研究開発機構（AMED）
創薬事業部
規制科学推進課

目次

- はじめに
- 医薬品等規制調和・評価研究事業 概要説明
- 令和7年度公募 概要説明
- 公募課題説明
- 問い合わせ先

Copyright 2023 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

はじめに

- 本公募説明資料は、本事業の令和7年度公募の趣旨を概説するものであり、説明のために抜粋・要約等を行っております。

- 公募の詳細につきましては、「医薬品等規制調和・評価研究事業 令和7年度公募」の**公募要領を必ずご確認ください**。

https://www.amed.go.jp/koubo/11/03/1103B_00028.html

Copyright 2023 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

目次

- はじめに
- **医薬品等規制調和・評価研究事業 概要説明**
- 令和7年度公募 概要説明
- 公募課題説明
- 問い合わせ先

Copyright 2023 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

医薬品等規制調和・評価研究事業の概要

- 医薬品等規制調和・評価研究事業では、レギュラトリーサイエンス（RS)を充実・強化するため、国際規制調和の最新の動向を考慮しつつ、医薬品等の品質、有効性及び安全性に関する評価法等に関する研究を実施し、科学的合理性と社会的正当性に関する根拠に基づいた審査指針や基準の策定等につなげます。
- また、最先端の技術を活用した医薬品等に係る評価法についての研究を実施し、国際調和を図りつつ、規格・基準の策定の提案等につなげます。
- RS研究の推進により期待される成果は下記の通りです。
  - ✓新たな技術に対応した承認審査の推進
  - ✓市販後安全対策の基盤整備
  - ✓品質、有効性及び安全性に係る評価ガイドラインの策定　　等
- **個別の医薬品等の研究開発や事業趣旨に合わない基礎研究は、本事業の公募の対象外です。**

Copyright 2023 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

事業実施体制

○プログラムスーパーバイザー（PS）

医薬品医療機器レギュラトリーサイエンス財団 会長　**奥田 晴宏**

○プログラムオフィサー（PO）

国立医薬品食品衛生研究所　客員研究員　**片倉 健男**
順天堂大学大学院医学研究科　教授　**佐瀬 一洋**
大阪はびきの医療センター　次世代創薬創生センター
センター長　**松山 晃文**
日本薬剤師研修センター　理事長　**矢守 隆夫**

その他、当事業に関する情報は下記ホームページをご参照下さい
https://www.amed.go.jp/program/list/11/03/001.html

Copyright 2023 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

目次

- はじめに
- 医薬品等規制調和・評価研究事業 概要説明
- **令和7年度公募 概要説明**
- 公募課題説明
- 問い合わせ先

Copyright 2023 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

令和7年度公募スケジュール　(公募要領 p.5)

- 提案書類受付期間
  令和6年11月1日（金）～11月29日（金）【12:00】（厳守）
- 書面審査
  令和6年12月上旬～令和7年1月上旬（予定）
- ヒアリング審査
  令和7年1月27日（月）1月28 日（火）1月29 日（水）（予定）
- 採択可否の通知
  令和7年2月中旬（予定）
- 研究開発開始（契約締結等）
  令和7年4月1日（月）（予定）

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

※令和7年度は2次公募を実施しない予定です。

Copyright 2023 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

e-Radに関する注意事項　(公募要領 p.25~27)

- 提案書類の提出は、受付期間内にe-Radにてお願いします。提出期限内に提出が完了していない場合は応募を受理しません。
- 応募する「研究開発代表者」及び研究に参画する「研究開発分担者」は研究者情報を登録し、ログインID、パスワードを取得する必要があります。
- 申請様式ファイルは、PDF形式（最大15MB）でのみアップロード可能となっています。
- 「研究開発代表者」から所属機関にe-Radで申請した段階では応募は完了していません。必ず所属機関の承認の手続きを行ってください。
- e-Radに登録されている研究者情報と研究開発提案書の記載が異なる提案がみられます。 e-Radの研究者情報も更新してください。
- 操作方法に関する問合せは、e-Radポータルサイト（https://www.e-rad.go.jp/）のヘルプデスク（TEL: 0570-057-060 [ナビダイヤル]）にて受け付けます。AMED事業担当課ではお答えできません。

Copyright 2023 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

ヒト全ゲノムシークエンス解析プロトコールについて (公募要領 p.15~17)

- 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クエ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。
- 全ゲノムシークエ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クエンスデータには、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。

Copyright 2023 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

ヒト全ゲノムシークエンス解析プロトコールについて (公募要領 p.15~17)

■ AMEDは、この目的を達成するため、全ゲノムシークエンスの解析プロトコールが公募要領の「3.5 データシェアリング」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）
- シークエンス反応（キット名、リード長等）
- 解析装置の機種名（機種名・型番等。外注の場合は外注先も記入）
- クオリティーコントロール（QC）の方法
- リファレンスゲノムとのマッピング及びアセンブルの方法

※ 全ゲノムシークエンス解析
次世代シークエンサーを利用した全ゲノムシークエンス解析及び全エクソーム解析を指します。なお、次世代シークエ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クエンス解析は含みません。

■ ヒト全ゲノムシークエ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クエ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。

※ ヒト全ゲノムシークエンス解析プロトコール様式

Copyright 2023 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

研究費の不合理な重複及び過度の集中の排除 (公募要領 p.28~30)

- 本事業の応募段階において、同様の研究内容で他の競争的研究制度等へ応募することは制限しておりませんが、他の競争的研究制度等に採択された場合は速やかにAMED事業担当課に報告してください。この報告に漏れがあった場合、本事業において採択の決定の取り消し等を行う可能性があります。

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

- 同時に応募した研究開発課題の情報を研究開発提案書の該当欄へ必ず記載してください。本事業への提案書類の提出後に、記載内容に変更が生じた場合は、速やかにAMED事業担当課に報告をお願いします。

Copyright 2023 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

目次

- はじめに
- 医薬品等規制調和・評価研究事業 概要説明
- 令和7年度公募 概要説明
- **公募課題説明**
- 問い合わせ先

Copyright 2023 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

令和7年度公募課題　(公募要領 p.3~10)

#	分野、領域、テーマ等		研究開発費の規模 (間接経費を含まず)	研究開発実施 予定期間	新規採択 課題予定数
1	新規医薬品等の開発の環境整備に資する研究		1課題当たり年間 27,000千円上限	令和7年4月（予定） ～令和9年度末	0～1課題 程度
2	医薬品等に係る薬事規制の国際調和に資する研究	A	1課題当たり年間 27,000千円上限	令和7年4月（予定） ～令和9年度末	0～1課題 程度
		B	1課題当たり年間 8,000千円上限		0～2課題 程度
3	医薬品等の品質、有効性、安全性等の評価、分析法等の開発に資する研究	1.医薬品等 A	1課題当たり年間 16,000千円上限	令和7年4月（予定） ～令和9年度末	0～3課題 程度
		1.医薬品等 B	1課題当たり年間 8,000千円上限		0～6課題 程度
		1.医薬品等 C	1課題当たり年間 4,000千円上限		0～2課題 程度
		1.医薬品等 D	1課題当たり年間 2,000千円上限		0～2課題 程度

Copyright 2023 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

令和7年度公募課題（続）　(公募要領 p.3~10)

#	分野、領域、テーマ等		研究開発費の規模 (間接経費を含まず)	研究開発実施 予定期間	新規採択 課題予定数
3	医薬品等の品質、有効性、安全性等の評価、分析法等の開発に資する研究	2.医療機器 A	1課題当たり年間 27,000千円上限	令和7年4月（予定） ～令和9年度末	0～1課題程度
		2.医療機器 B	1課題当たり年間 8,000千円上限		0～1課題程度
		3.市販後安全対策 A	1課題当たり年間 27,000千円上限	令和7年4月（予定） ～令和9年度末	0～1課題程度
		3.市販後安全対策 B	1課題当たり年間 16,000千円上限		0～1課題程度
4	医薬品・医療機器・再生医療等製品等に係るレギュラトリーサイエンスに関する研究（若手育成枠）		1課題当たり年間 4,000千円上限	令和7年4月（予定） ～令和9年度末	0～4課題程度

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

（2）課題申請時に規定されていた予算上限を超えていた場合は不受理とします。

他にも注意事項がございますので、公募要領の記載を必ずご確認ください。

研究開発提案書の作成にあたっての留意点も公募要領に記載されています。

Copyright 2023 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

1. 新規医薬品等の開発の環境整備に資する研究（1）

e-Rad上の公募名はこちらです。

（様式１）研究開発提案書(p.1)の分野、領域、テーマ名を選択してください。

＜目標＞

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

＜求められる成果＞

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

① エクソソームを含む細胞外小胞を有効成分とする医薬品等の品質安全性確保のためのレギュラトリーサイエンス研究

（様式１）研究開発提案書(p.1)の該当テーマを選択してください。

＜研究費の規模等＞

研究開発費の規模（間接経費を含まず）	研究開発実施予定期間	採択予定課題数
27,000千円（上限）／１課題（年間）	令和7年度～令和9年度末	0～1 課題程度

＜採択条件［書類を添付する等、条件を満たしていることを示すこと］＞

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

Copyright 2023 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

1. 新規医薬品等の開発の環境整備に資する研究（2）

- 研究開発テーマ （1-①） :

エクソソームを含む細胞外小胞を有効成分とする医薬品等の品質安全性確保のためのレギュラトリーサイエンス研究

背景	近年、新規モダリティとして、細胞から放出されるエクソソーム等の細胞外小胞が注目され、国内外で医薬品としての開発が進んでいる。日本では海外の規制当局に先駆けて、PMDA科学委員会から「エクソソームを含む細胞外小胞（EV）を利用した治療用製剤に関する報告書（2023年1月17日）」が公表された。国内外において、エクソソームの基礎および開発研究が活発に行われているが、品質安全性確保に関する規制要件に着目した研究は限られている。エクソソームを含む細胞外小胞は不均一性が非常に高く単一粒子レベルでの解析が重要であることや、サイトカイン産生等の安全性に関わる課題も明らかになってきており、エクソソームを含む細胞外小胞を有効成分とする医薬品等が実用化され、既存のモダリティにない有効性を示す治療薬として活用されるには、品質安全性確保のための評価法の開発と規制要件の確立が課題である。
本テーマの研究成果の例	• エクソソームを含む細胞外小胞を有効成分とする医薬品等の有効性・安全性に関するin vitro、in vivo評価系の開発 • エクソソームを含む細胞外小胞を有効成分とする医薬品等の細胞基材および製品の品質特性の評価法と管理手法の確立 • エクソソームを含む細胞外小胞を有効成分とする医薬品等の臨床試験開始に向けた品質安全性確保のためのガイダンス案の作成

Copyright 2023 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

2. 医薬品等に係る薬事規制の国際調和に資する研究（1）

e-Rad上の公募名はこちらです。

（様式１）研究開発提案書(p.1)の分野、領域、テーマ名を選択してください。

＜目標＞

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

＜求められる成果＞

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

（様式１）研究開発提案書(p.1)の該当テーマを選択してください。

【A】

① 新規in vitro評価系を用いた医薬品等の安全性・薬物動態試験等の国際調和に資する研究

【B】

① 多様な医薬品の生物学的同等性評価手法の開発とガイドラインの国際調和に関する研究

② 国際動向を踏まえた小児医薬品の早期実用化に向けたレギュラトリーサイエンス研究

＜研究費の規模等＞

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

	研究開発費の規模（間接経費を含まず）	研究開発実施予定期間	採択予定課題数
A	27,000千円（上限）／１課題（年間）	令和7年度～令和9年度末	0～1 課題程度
B	8,000千円（上限）／１課題（年間）	令和7年度～令和9年度末	0～2 課題程度

＜採択条件［書類を添付する等、条件を満たしていることを示すこと］＞

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

Copyright 2023 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

2. 医薬品等に係る薬事規制の国際調和に資する研究（2）

- 研究開発テーマ （2-A-①） ：

新規in vitro評価系を用いた医薬品等の安全性・薬物動態試験等の国際調和に資する研究

背景	3Rs（Replacement, Reduction, Refinement）の原則のもと、医薬品開発における動物実験の削減に関する取り組みが進む中、生体模倣システム（MPS: Micro Physiological System）やオルガノイド等のヒトへの外挿性の高い新規in vitro評価系の開発・利活用への期待が高まっている。再現性やユーザビリティーの高いMPS等の新規in vitro評価法の開発および利活用において国際的な遅れをとらないためにも、我が国発の具体的な評価モデルの確立と提案が不可欠である。また、今後、各国において新規in vitro評価系を標準化・ガイドライン化する動きが盛んになることが予想され、国内においても国際調和にむけた体制作りが必要である。
本テーマの研究成果の例	• 医薬品開発におけるニーズを踏まえた新規in vitro評価系の利用目的（CoU: Context of Use）の選定と分析能力、限界、精度、妥当性等の検証 • MPS等の新規in vitro評価系の標準作業手順書（SOP）の作成、バリデーションの実施と標準化 • 国際的なガイドライン（ICHガイドライン、OECDテストガイドライン等）への反映を見据えた提言の作成 • MPS・オルガノイド等の新規in vitro評価法のモデル開発と医薬品開発における利活用に関する国際動向の調査と把握、国内の規制当局・ユーザー・サプライヤー等との議論を行う体制の整備

Copyright 2023 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

2. 医薬品等に係る薬事規制の国際調和に資する研究（3）

- 研究開発テーマ （2-B-①） ：

  多様な医薬品の生物学的同等性評価手法の開発とガイドラインの国際調和に関する研究

背景	生物学的同等性（BE）は、医薬品の開発において標準製剤と試験製剤の治療学的同等性の保証を目的に確認されるものであり、2020年に議論を開始したICH M13（即放性経口固形製剤の生物学的同等性試験）に続き、放出制御製剤（徐放性製剤、腸溶性製剤）のBE試験ガイドラインがICHの新規トピックとなり、BE試験に関連する議論が国際的にも活発化している。また、局所（気管支、鼻腔、消化管等）に作用する製剤は、従来の手法ではバイオアベイラビリティ評価が困難な複雑な製剤であるが、米国ではこれらのBE評価研究とガイドライン作成が推進されている一方で、国内では指針策定と後発品開発が遅れている。さらに、多様な剤形や患者背景を考慮したBE評価が求められる中で活用が期待されるモデリング＆シミュレーション（M&S）技術について、申請・審査での実用化には至っていないという課題が存在する。国際的動向に対応したガイドラインの円滑な国内実装のため、このような課題に対応する指針や改訂案の提示、BE評価手法の提案が求められている。
本テーマの研究成果の例	• 国際動向に対応したBE試験ガイドライン群の改訂案の提示 • 経口固形製剤以外の医薬品のBE試験ガイドライン案の作成 • M&S技術に基づくBE評価法の活用に向けた提案

Copyright 2023 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

2. 医薬品等に係る薬事規制の国際調和に資する研究（4）

- 研究開発テーマ （2-B-②）：

国際動向を踏まえた小児医薬品の早期実用化に向けたレギュラトリーサイエンス研究

背景	米国・EUでは、小児における新薬開発が法的に義務付けられ、年間小児治験数、小児用医薬品承認数共に増加している一方で、我が国の小児医薬品開発は欧米に後れを取っている。欧米では産官学連携体制・コンソーシアムの構築が急速に進んでおり、さらに新生児領域や小児希少疾病領域の開発をいかに進めるかに焦点がうつり、より良い小児剤形検討や添加物安全性情報のデータベース化（European Paediatric Formulation Initiative：EuPFI等）や新生児・小児医薬品開発の国際連携（Critical Path Institute：c-pathを事務局とする新生児の国際コンソーシアムであるInternational Neonatal Consortium：INCや、希少難病治療を推進するための自然歴、外部対照、長期フォローのマーカーなどの検討等）の動きは急速に拡大している。我が国での小児医薬品の早期実用化のためにも、これらの国際コンソーシアムと連携して、バイオマーカーの考え方、試験デザイン、小児剤形、ファーマコメトリクスやモデリング＆シミュレーション（M&S）の活用等の課題に取り組む必要がある。
本テーマの研究成果の例	• 小児医薬品開発等に資する国際コンソーシアムとの連携体制整備 • 小児医薬品の早期実用化に資するバイオマーカーの考え方、試験デザイン、小児剤形等に関する検討・取りまとめ文書等の作成 • 具体例を用いたファーマコメトリクス、M&Sの活用方法の検討・取りまとめ文書等の作成

Copyright 2023 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

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

e-Rad上の公募名はこちらです。

（様式１）研究開発提案書(p.1)の分野、領域、テーマ名を選択してください。

<目標>

本公募では、先端技術を用いた医薬品等の評価技術の開発又は検証、その過程での評価要件・技術要件・規制要件を明確化するための科学的エビデンスの蓄積、データ利活用のための環境整備や基盤整備等を通じて、関連する薬事上の課題の抽出及び解決策の提言を目標とします。

<求められる成果>

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

（様式１）研究開発提案書(p.1)の該当テーマを選択してください。

【1.医薬品等 A】

① バイオシミラーの承認規制の変革に対応した品質および臨床評価に関する研究
② その他、医薬品等の品質・有効性・安全性等の評価、分析法等の開発、ガイドライン作成等に関する研究

【 1.医薬品等 B】

① マイクロニードル技術を活用した新剤形医薬品の製剤試験法に関する研究
② ICH S5ガイドラインに対応したin vitro発生毒性試験法開発に関する研究
③ ヒト肝臓代謝を反映したin vitro変異原性試験法開発に関する研究
④ その他、医薬品等の品質・有効性・安全性等の評価、分析法等の開発、ガイドライン作成等に関する研究

Copyright 2023 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

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

（様式１）研究開発提案書(p.1)の該当テーマを選択してください。

＜求められる成果（続）＞

【1.医薬品等 C】

① その他、医薬品等の品質・有効性・安全性等の評価、分析法等の開発、ガイドライン作成等に関する研究

【1.医薬品等 D】

① アデノ随伴ウイルスベクター（AAV）の治験開始におけるカルタヘナ法第一種使用規程に関する研究

② 血糖降下薬の臨床評価方法に関するガイドラインの策定に関する研究

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

＜研究費の規模等＞

	研究開発費の規模（間接経費を含まず）	研究開発実施予定期間	採択予定課題数
A	16,000千円（上限）／１課題（年間）	令和7年度～令和9年度末	0～3 課題程度
B	8,000千円（上限）／１課題（年間）	令和7年度～令和9年度末	0～6 課題程度
C	4,000千円（上限）／１課題（年間）	令和7年度～令和9年度末	0～2 課題程度
D	2,000千円（上限）／１課題（年間）	令和7年度～令和9年度末	0～2 課題程度

＜採択条件［書類を添付する等、条件を満たしていることを示すこと］＞

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

Copyright 2023 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

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

- 研究開発テーマ （3-1-A-①） ：

  バイオシミラーの承認規制の変革に対応した品質および臨床評価に関する研究

背景	国内では政府方針においてバイオシミラーの普及が推進されており、欧米の規制当局においてもバイオシミラーの開発と普及を推進する動きが強くなっている。近年、欧米では品質と薬力学（PD）マーカーの比較評価に重点を置き、臨床試験を簡略化するための議論が活発に行われており、有効性に関連するPDマーカーの探索が推奨されると共に、安全性に関連した品質評価を強化することの必要性がより明確になっている。このような国際的な承認規制の変革に対応した評価法の構築、継続的な品質・有効性・安全性の検証のための仕組み構築、国内における規制要件の提示とこれらの国際調和に向けた取り組みが求められている。
本テーマの研究成果の例	• バイオシミラーの臨床試験の簡略化を支援し得る安全性関連品質特性評価法の確立、各品質特性に関する許容範囲の提案 • バイオシミラーの臨床試験において利用可能なPDマーカー（候補）のリスト化と利用における留意事項の整理 • リアルワールドデータを用いた既承認バイオシミラーの有効性・安全性に関わる調査 • バイオシミラーの承認規制の変革に対応した国内における規制要件の提示、国際調和にむけた提案書の作成

Copyright 2023 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

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

- 研究開発テーマ （3-1-B-①） :

  マイクロニードル技術を活用した新剤形医薬品の製剤試験法に関する研究

背景	数百ミクロンの微細な針に薬物を含有させ、パッチ状に並べて皮膚に貼付する「マイクロニードル」は、注射しか投与手段のないワクチン、中・高分子などの創薬モダリティを無痛・低侵襲に自己投与可能な新剤形として期待されている一方で、国内外における承認例は無く、薬事承認に不可欠な品質評価法や規格設定に関するレギュラトリーサイエンス研究が求められている。特に、実用化に向けて医薬品部分の品質規格を設定する上で、注射剤や貼付剤等の製剤試験法（滅菌法、製剤均一性、溶出性、保存安定性等）をそのままマイクロニードルに適用することが困難であるため、剤形に適した製剤試験法を開発・改良する必要があり、これらを反映した実用的な技術ガイダンスの作成が求められている。
本テーマの研究成果の例	• マイクロニードル製品の実用的な製剤試験法の開発 • 国内における実用的な技術的ガイダンスの作成

Copyright 2023 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

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

- 研究開発テーマ （3-1-B-②） :

  ICH S5ガイドラインに対応したin vitro発生毒性試験法開発に関する研究

背景	医薬品開発において、胚・胎児に対する影響を調べる臨床試験の実施は現実的に不可能であり、動物を用いた非臨床試験は発生毒性を評価する上で非常に重要である。一方、動物を用いた発生毒性試験は種差が大きく、サリドマイドのようにげっ歯類では奇形を生じないがヒトでは深刻な奇形を生じる医薬品が存在するため、複数の動物種を多数用いた長期にわたる試験が必要である。2022年に改訂された医薬品の生殖発生毒性評価にかかるガイドライン（ICH S5 (R3)）で初めて動物試験代替法の利用について言及されたことを踏まえ、3Rsの観点からもin vitro発生毒性試験代替法の確立が求められている。
本テーマの研究成果の例	• ICH S5(R3)の代替法の適格性を満たすin vitro発生毒性試験法の開発

Copyright 2023 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

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

- 研究開発テーマ （3-1-B-③） :

  ヒト肝臓代謝を反映したin vitro変異原性試験法開発に関する研究

背景	医薬品中の変異原性不純物の評価と管理に関するガイドライン（ICH-M7）では不純物の変異原性のフォローアップ評価としてin vivoでの試験が必須となっている一方で、 in vivo試験は迅速性に欠けコストが高いこと、また、齧歯類動物を用いるため必ずしもヒトの代謝を反映した結果を得ることができないことが課題となっている。このような課題を解決するため、ヒト肝臓代謝を反映した新規のin vitro変異原性試験法の開発が求められている。
本テーマの研究成果の例	• ヒト肝臓代謝を反映した迅速かつ簡便なin vitro変異原性試験法の開発

Copyright 2023 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

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

- 研究開発テーマ （3-1-D-①） :

  アデノ随伴ウイルスベクター（AAV）の治験開始におけるカルタヘナ法第一種使用規程に関する研究

背景	カルタヘナ法の運用については、これまでの研究や業界からの意見聴取を踏まえて改善が行われ、現行の法を大きく変更することなく、薬事申請における申請者・行政双方の労力が大きく削減されてきた。それでも、カルタヘナ議定書を批准していない米国と比較すると、治験開始前の手続きが多く、重篤・希少疾患等を対象とする遺伝子治療用製品を本邦の患者に迅速に届ける上での開発上の障壁の一つとして指摘されている。これまでに遺伝子組換え生物等の第一種使用として、アデノ随伴ウイルスベクター（AAV）を使用した遺伝子治療用製品が多く承認され、我が国における使用経験も蓄積してきたことから、AAVの治験開始時点におけるカルタヘナ法の要求事項の緩和について議論可能な状況となっている。
本テーマの研究成果の例	• 本邦で承認されたAAVを用いた遺伝子治療用製品の第一種使用規程の精査及び環境へ与えた影響の情報収集、海外の状況の整理 • AAVを用いた遺伝子治療用製品の治験開始時における条件緩和に関する検討、提言の作成

Copyright 2023 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

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

- 研究開発テーマ （3-1-D-②）：

  血糖降下薬の臨床評価方法に関するガイドラインの策定に関する研究

背景	本邦での血糖降下薬の臨床開発については、「経口血糖降下薬の臨床評価方法に関するガイドライン」（OADガイドライン）において必要とされる臨床試験等が示されている。当該ガイドラインが発出されて10年以上が経過し、新規作用機序の経口血糖降下薬としてSGLT-2阻害剤が使用可能となり、また2型糖尿病治療においてGLP-1受容体作動薬の注射剤も汎用されるようになった。さらに、近年の糖尿病治療薬の臨床開発では国際共同治験を用いる事例も増えている。このような状況の変化を踏まえて、臨床的な観点及びレギュラトリーサイエンスの観点から、今後の糖尿病治療薬の開発に資する臨床評価ガイドラインとして、インスリン製剤及びインスリン以外の非経口血糖降下薬も含めた糖尿病治療薬全体を包括し、かつ国際的に整合するガイドラインを策定することが求められている。
本テーマの研究成果の例	• 糖尿病治療薬全体を包括する国際的な整合性のとれた臨床評価方法ガイドラインの改訂案の作成

Copyright 2023 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

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

e-Rad上の公募名はこちらです。

（様式１）研究開発提案書(p.1)の分野、領域、テーマ名を選択してください。

（様式１）研究開発提案書(p.1)の該当テーマを選択してください。

＜求められる成果＞

【2.医療機器 A】

① 機械学習利用プログラム医療機器の性能評価に関する研究

【2.医療機器 B】

① その他、医療機器の品質・有効性・安全性等の評価、分析法等の開発、ガイドライン作成等に関する研究

＜研究費の規模等＞

	研究開発費の規模（間接経費を含まず）	研究開発実施予定期間	採択予定課題数
A	27,000千円（上限）／１課題（年間）	令和7年度～令和9年度末	0～1 課題程度
B	8,000千円（上限）／１課題（年間）	令和7年度～令和9年度末	0～1 課題程度

＜採択条件［書類を添付する等、条件を満たしていることを示すこと］＞

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

Copyright 2023 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

3. 医薬品等の品質、有効性、安全性等の評価、分析法等の開発に資する研究（10）

- 研究開発テーマ （3-2-A-①） ：

機械学習利用プログラム医療機器の性能評価に関する研究

背景	近年、機械学習に基づいたAIを利用した様々なプログラム医療機器が開発され、画像診断支援を目的とした製品以外にも行動変容を目的とした製品の実用化を目指した研究が進展している。プログラム医療機器の改良・改善については、その変更により臨床的有用性、臨床上の有効性・安全性に及ぼす影響の評価が必要になる。これらを、事前の変更計画に基づく性能評価により評価可能と判断できる変更については、 これまでに機械学習利用プログラム医療機器の市販後学習による性能向上を速やかに承認するための法体系が整備されたが、その実運用においては、市販後学習プロセスとその特性に応じた性能評価プロセスとを連動させるとともに、実臨床における性能とのギャップを最小化させる必要があり、種々のモダリティを対象とした性能評価の妥当性検証が求められている。また、国際的にはISO/IEC JTC 1/SC 42で行われている一般的なAIに関する標準化に続き、医療機器分野におけるAIに関する標準化がIEC/TC 62で進んでおり、我が国が積極的に関与するためには、その議論の背景となる科学的知見の積み上げが求められている。
本テーマの研究成果の例	• 機械学習利用プログラム医療機器の性能評価に係る国内外の動向調査 • 種々のモダリティを対象とした実証実験による性能評価の妥当性検証 • 市販後学習後の機械学習利用プログラム医療機器の性能評価及び品質管理方法等に関する提言の作成

Copyright 2023 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

3. 医薬品等の品質、有効性、安全性等の評価、分析法等の開発に資する研究（11）

e-Rad上の公募名はこちらです。

（様式１）研究開発提案書(p.1)の分野、領域、テーマ名を選択してください。

（様式１）研究開発提案書(p.1)の該当テーマを選択してください。

＜求められる成果＞

【3.市販後安全対策 A】

① 大規模医療情報の利活用促進に資する医療機関におけるデータ標準化の実装に係る研究

【3.市販後安全対策 B】

① PBPKモデルを用いた薬物代謝酵素遺伝子多型の治療への影響予測に関する研究

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

＜研究費の規模等＞

	研究開発費の規模（間接経費を含まず）	研究開発実施予定期間	採択予定課題数
A	27,000千円（上限）／１課題（年間）	令和7年度～令和9年度末	0～1 課題程度
B	16,000千円（上限）／１課題（年間）	令和7年度～令和9年度末	0～1 課題程度

＜採択条件［書類を添付する等、条件を満たしていることを示すこと］＞

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

Copyright 2023 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

3. 医薬品等の品質、有効性、安全性等の評価、分析法等の開発に資する研究（12）

- 研究開発テーマ （3-3-A-①） ：

大規模医療情報の利活用促進に資する医療機関におけるデータ標準化の実装に係る研究

背景	医薬品等の市販後安全対策において医療情報データベース等のリアルワールドデータ（RWD）が活用されつつあるが、多施設のデータを横断的に活用するためにはデータの標準化が不可欠である。医薬品や検査等のデータを標準化するために、標準コードのマッピングが必要であるが、RWDの品質や信頼性を確保する上で、標準コードのマッピングにかかる効率化や自動化などが課題となっており、標準コードのマッピングを電子カルテを導入している医療機関に広く実装するためには、普遍性の高い仕様や作業の手順の検討が必要である。 医薬品医療機器等法に基づき、バーコードリーダーで読み出し可能なトレーサビリティバーコードとしてGS1コードの医薬品等への表示が義務づけられていることから、上記の仕様や作業手順の検討にあたって、GS1コードマスタと汎用性の高い各種コードとのマッピングに係る効率的な手法等の開発、マッピング情報を含むデータベースと各医療機関の電子カルテや部門システムとの連携モデル、および医療機関における具体的な手順の策定や手順の運用に係る実証研究が必要である。
本テーマの研究成果の例	• 医療機関内システムにおける標準コードのマッピング運用と管理手順に関する普遍性の高い仕様書、手順書案の作成 • GS1コードマスタと汎用コードとのマッピングの自動化や効率的な手法の開発 • GS1コードを用いた標準コードのマッピングを用いた、医療機関内での各データの網羅性、正確性の高い記録手法の策定と実証

Copyright 2023 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

3. 医薬品等の品質、有効性、安全性等の評価、分析法等の開発に資する研究（13）

- 研究開発テーマ （3-3-B-①） :

  PBPKモデルを用いた薬物代謝酵素遺伝子多型の治療への影響予測に関する研究

背景	本邦では、薬物代謝酵素の遺伝子多型情報の臨床活用が欧米に比べて進んでおらず、その要因として臨床に応用できる情報が不足している事があげられるが、遺伝子多型の薬物動態や安全性との関連性を検証するために臨床試験を実施する事は現実的には難しい。「医薬品開発と適正な情報提供のための薬物相互作用ガイドライン」ではin vitro薬物代謝酵素機能解析のデータを用いた生理学的薬物速度論（PBPK）モデルを用いた薬物血中濃度のモデリング&シミュレーション（M&S）が臨床における相互作用の強度の評価に利用されており、遺伝子多型による薬物代謝の変化についても予測精度の高いPBPKモデルの構築とそれを用いた臨床応用可能な情報取得、関連する技術的ガイダンスの整備が求められている。
本テーマの研究成果の例	• 薬物代謝における各代謝酵素の寄与度と遺伝子多型によるヒト血中濃度推移に関するPBPK法による予測評価系の開発 • 上記予測評価系を利用した遺伝子多型による影響予測法に関する技術的ガイダンスの作成

Copyright 2023 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

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

e-Rad上の公募名はこちらです。

（様式１）研究開発提案書(p.1)の分野、領域、テーマ名を選択してください。
また、若手育成枠の要件をチェックしてください。

<目標>

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

<求められる成果>

医薬品・医療機器・再生医療等製品等の開発を促進するためのガイドライン案の策定、ガイドライン案の策定に資する研究成果、品質・有効性・安全性等の評価系の開発等

<研究費の規模等>

研究開発費の規模（間接経費を含まず）	研究開発実施予定期間	採択予定課題数
4,000千円（上限）／１課題（年間）	令和7年度～令和9年度末	0～4 課題程度

<採択条件>

年齢等について公募要領をご確認ください。

Copyright 2023 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

若手育成枠と若手研究者登用制度の応募要件について（1）

公募対象課題としての若手育成枠（第2章）

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

（1）研究開発代表者が以下の条件を満たす者であることとします。

令和7年4月１日時点において、①年齢が満43歳未満の者（昭和57年4月2日以降に生まれた者）、②又は博士号取得後10年未満の者のいずれか高い方を対象とします。③ただし、出産・育児又は介護により研究に専念できない期間があった場合は、①あるいは②に当該期間分（最長２年。延長の単位は月単位とし1月未満の日数は切り上げます）加算することができます。

（2）若手研究者の育成という目的を考慮し、以下の①または②に該当する者が研究開発代表者となる提案は対象外とします。

① 当事業の若手育成枠以外の研究課題で研究開発代表者を務めたことがある者。

② 当事業の若手育成枠の研究開発代表者として過去に2回以上採択されたことがある者。

Copyright 2023 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

若手育成枠と若手研究者登用制度の応募要件について（2）

若手研究者の登用支援（第3章）

若手研究者の登用を希望する場合に必要な提出書類等については公募要領（第4章 4.1）を、評価の観点については公募要領（第5章 5.1.3）をご確認下さい。

3.2 若手研究者の積極的な参画・活躍

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

若手育成枠で示した条件（1）に加えて以下の条件が追加されます。

- 令和7年4 月1 日時点において、博士等の学位を有する者又はこれと同程度の研究能力があると認められる者。ただし、医師（日本の医師免許取得者）については、博士の学位の有無に関わらず医学部卒業後2 年以上を経過した者。
- 当該事業の研究グループ等に参加している期間中、他の職を主たる職としない者。

Copyright 2023 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

目次

- はじめに
- 医薬品等規制調和・評価研究事業 概要説明
- 令和7年度公募 概要説明
- 公募課題説明
- **問い合わせ先**

Copyright 2023 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

応募前に再度チェックをお願いします

- 応募内容は公募趣旨にあっているか？
  レギュラトリーサイエンスを充実・強化する研究提案になっているか？（個別の医薬品等の研究開発や事業趣旨に合わない基礎研究等は、本事業の公募の対象外です）

- 求められる成果に記載されているように、研究成果は規制への反映を目指したものになっているか？

- 関係者（専門家、行政、業界団体等）の意見が反映される体制が整備されているか？（採択条件）

皆様からの応募をお待ちしています。

Copyright 2023 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

公募に関するお問い合わせ

本研究事業に関するお問い合わせは下記までお願い致します。

日本医療研究開発機構（AMED）
創薬事業部
規制科学推進課
医薬品等規制調和・評価研究事業 事務局
TEL: 03-6870-2235
E-mail: kiseikagaku@amed.go.jp

Copyright 2023 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.