日本医療研究開発機構（AMED）
難治性疾患実用化研究事業
令和8年度公募説明会
F.希少難治性疾患の克服に結びつく病態解明研究分野

令和７年10月21日（火）
13:30～14:30
オンライン開催

本日はF-1、F-2、F-3、F-4の公募説明会にご参加頂き
ありがとうございます。
説明会の開始まで、公募要領、提案書（病態解明）をお手元に
ご準備のうえ、いましばらくお待ちください。

Copyright 2025 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

留意事項

- 本公募説明会は記録のために録画させていただきますので、ご承知おきください。
- 説明会中はマイクのスイッチをオフとし、こちらから指名されましたら、マイクのスイッチをオンにして、お話しください。
- 質問は説明後に挙手ボタンまたはチャットにてお知らせください。チャットは説明中でも入力可能です。
- チャットでのご質問は「全員」宛に質問をして下さい。ダイレクトチャットで個別に質問をした場合、回答できない場合があります。
- 回答は、挙手順またはチャットの入力順に口頭（場合によりチャット）にて回答させていただきます。
- 時間に限りがあり回答できなかった質問、即答できない場合は、後日メールにて回答しますので、改めて公募要領の表紙に記載の問い合わせ先までご連絡ください。
- 本日の説明資料、主な質疑回答内容については、公募ページにて後日公開いたします。

Copyright 2025 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

本日の内容

1. 難治性疾患実用化研究事業概要
2. 公募概要
   公募要領、提案書
3. 選考スケジュール
4. 申請時の注意（e-Rad）
5. 問い合わせ先・質疑

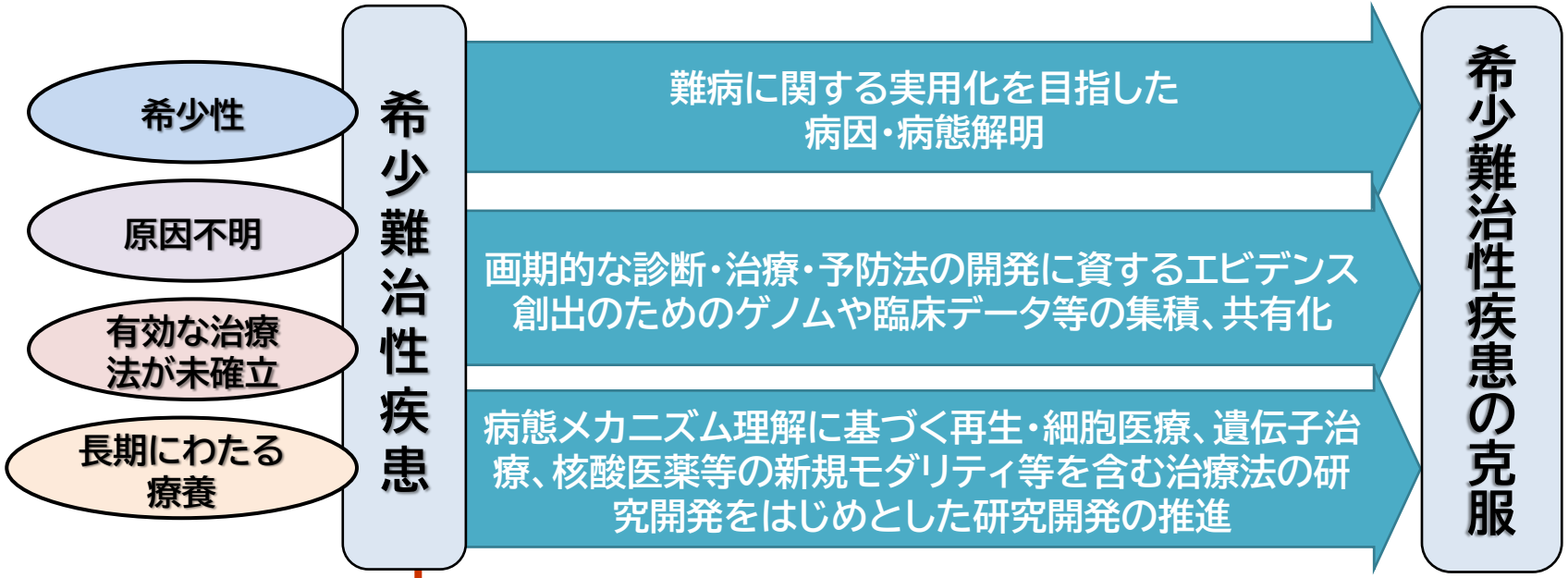
本説明会資料は公募要領の全てを記載したものではありません。
詳細は最新の公募要領を必ずご確認ください。

Copyright 2025 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

難治性疾患実用化研究事業概要

本事業は、下記の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。

- 当事業では、「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います。
- 「がん」「生活習慣病」「精神疾患」等、他のAMED事業において組織的な研究の対象となっている疾病は、希少性や難治性を有していても、本事業の支援対象とはなりません。



医薬品、再生・細胞医療・遺伝子治療、医療機器では、
シーズ探索、治験準備、治験の3ステップでの研究開発を支援

Copyright 2025 Japan Agency for Medical Research a

難治性疾患実用化研究事業概要

PJ1. 医薬品プロジェクト

PJ3. 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト

PJ5. データ利活用・ライフコースプロジェクト

診療の質向上 → 診療エビデンス創出 → 基礎的研究 → 応用研究 シーズ探索（ステップ０） → 非臨床試験 治験準備（ステップ１） → 治験（ステップ２） → 薬事承認

【AMED】 難治性疾患実用化研究事業

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

診療に直結するエビデンス創出研究

- 希少難治性疾患の克服に結びつく病態解明研究
- 希少難治性疾患に関する全ゲノム医療の推進等に資する研究
- 希少難治性疾患の個別化医療の推進に資する研究

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

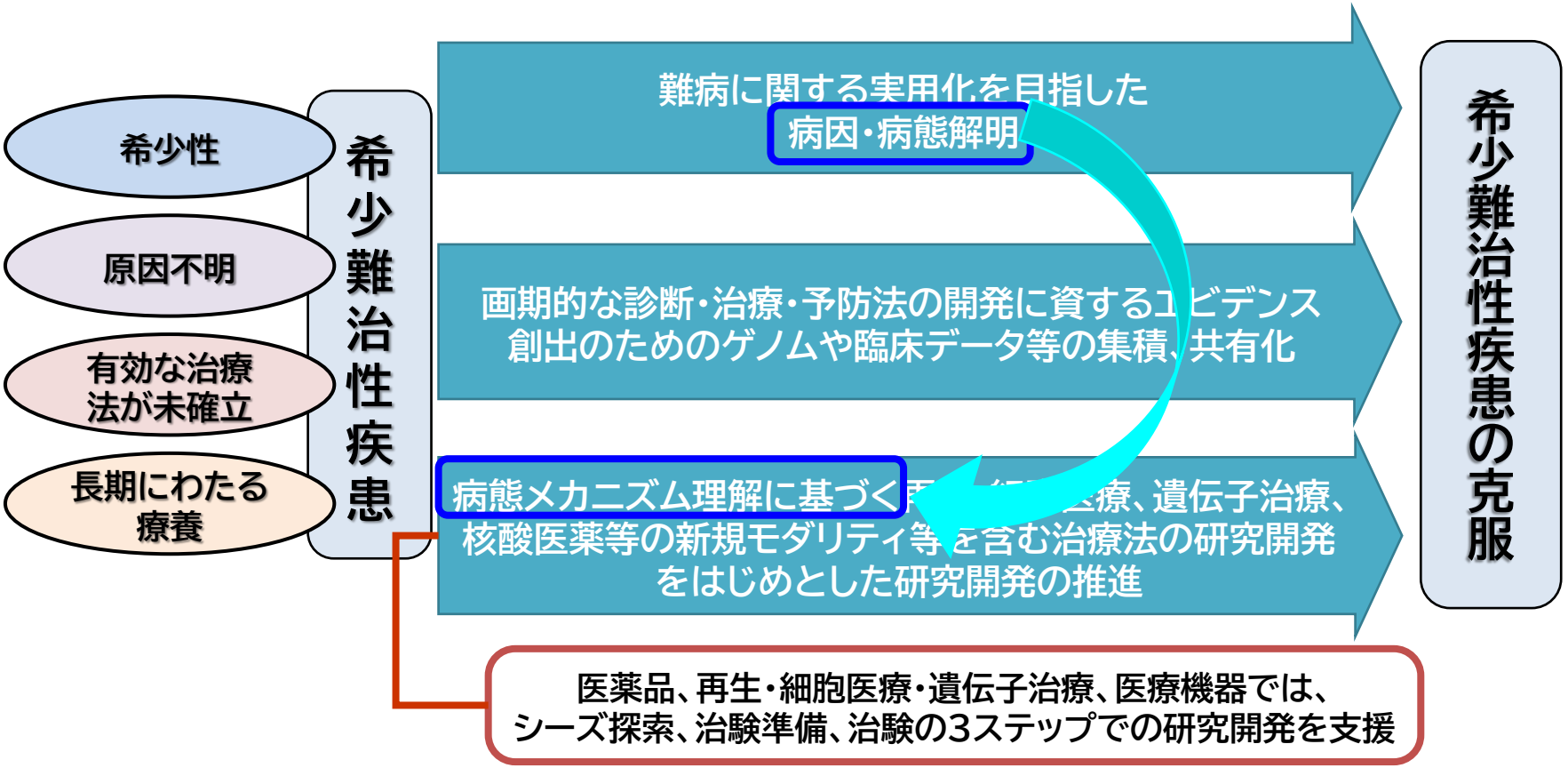
希少難治性疾患に対する画期的な医療機器の実用化に関する研究

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

Copyright 2025 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

難治性疾患実用化研究事業概要

- 当事業では、「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います。
- 「がん」「生活習慣病」「精神疾患」等、他のAMED事業において組織的な研究の対象となっている疾病は、希少性や難治性を有していても、本事業の支援対象とはなりません。



Copyright 2025 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

公募内容の概要

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 (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
F-1	希少難治性疾患の克服に結びつく病態解明研究分野	創薬標的の探索を目指した 希少難治性疾患の病態解明 （病態解明・Research 0）	1課題あたり年間10,000千円(上限)	最長3年 令和８年４月（予定）～令和10年度末	0～7 課題 程度
F-2		若手研究開発代表者による 創薬標的の探索を目指した 希少難治性疾患の病態解明 （病態解明・若手・Research Y0）	1課題あたり年間7,500千円(上限)	最長3年 令和８年４月（予定）～令和10年度末	0～4 課題 程度
F-3		希少難治性疾患の病態解明により 見出した創薬標的の検証 （病態解明・Research 1）	1課題あたり年間15,000千円(上限)	最長３年 令和８年４月（予定）～令和10年度末	0～2 課題 程度
F-4		若手研究開発代表者による 希少難治性疾患の病態解明により 見出した創薬標的の検証 （病態解明・若手・Research Y1）	1課題あたり年間15,000千円(上限)	最長３年 令和８年４月（予定）～令和10年度末	0～1 課題 程度

- 研究開発費の規模に記されている金額は、直接経費を指します。本経費は研究開発において執行されるものであり、間接経費は含まれておりません。なお、記載の金額は 各年度の上限となっておりますので、提案書の作成にあたっては、各年度で上限の金額を超えないようにご留意ください。
- F-2とF-4は若手育成枠です。提案者は若手の採択条件を満たしていることをご確認ください。

Copyright 2025 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

公募の背景及び目標

背景

発症のメカニズムが未解明で、根治に至る治療法が確立されていない希少難治性疾患に対しては、新たな創薬標的の探索・同定を通じて、画期的な診断・治療・予防法の開発を目指すことが求められる。そのためには、先端技術を活用し独創性に富んだ解析技術・評価方法などを自らが開発し応用する研究が重要である。さらに、実用化に向けては、研究によって見いだされた創薬標的に対する作用機序（MoA※）が対象疾患に対して有効であるかを検証し、次の研究開発ステップへと進むための検討が不可欠となる。

目標

病態解明研究分野においては、希少難治性疾患に特有のUnmet Medical Needsを、今までにないアプローチで満たすことを目的とした画期的な研究提案を採択する。

「F-1．病態解明・Research 0」及び「F-2．病態解明・若手・Research Y0」ではこれまでに得られた基礎研究の知見をもとに、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を創出し、新規作用機序（novel MoA）による創薬コンセプトを提案することを目的とする。

「F-2．病態解明・若手・Research Y0」は若手研究者ならではの斬新なアイディアと手法で行う、若手研究者が自ら着想した斬新なアイディアや独自の解析技術を活かし、これまでに例のない新しい視点から難病研究に挑む研究開発を採択する。

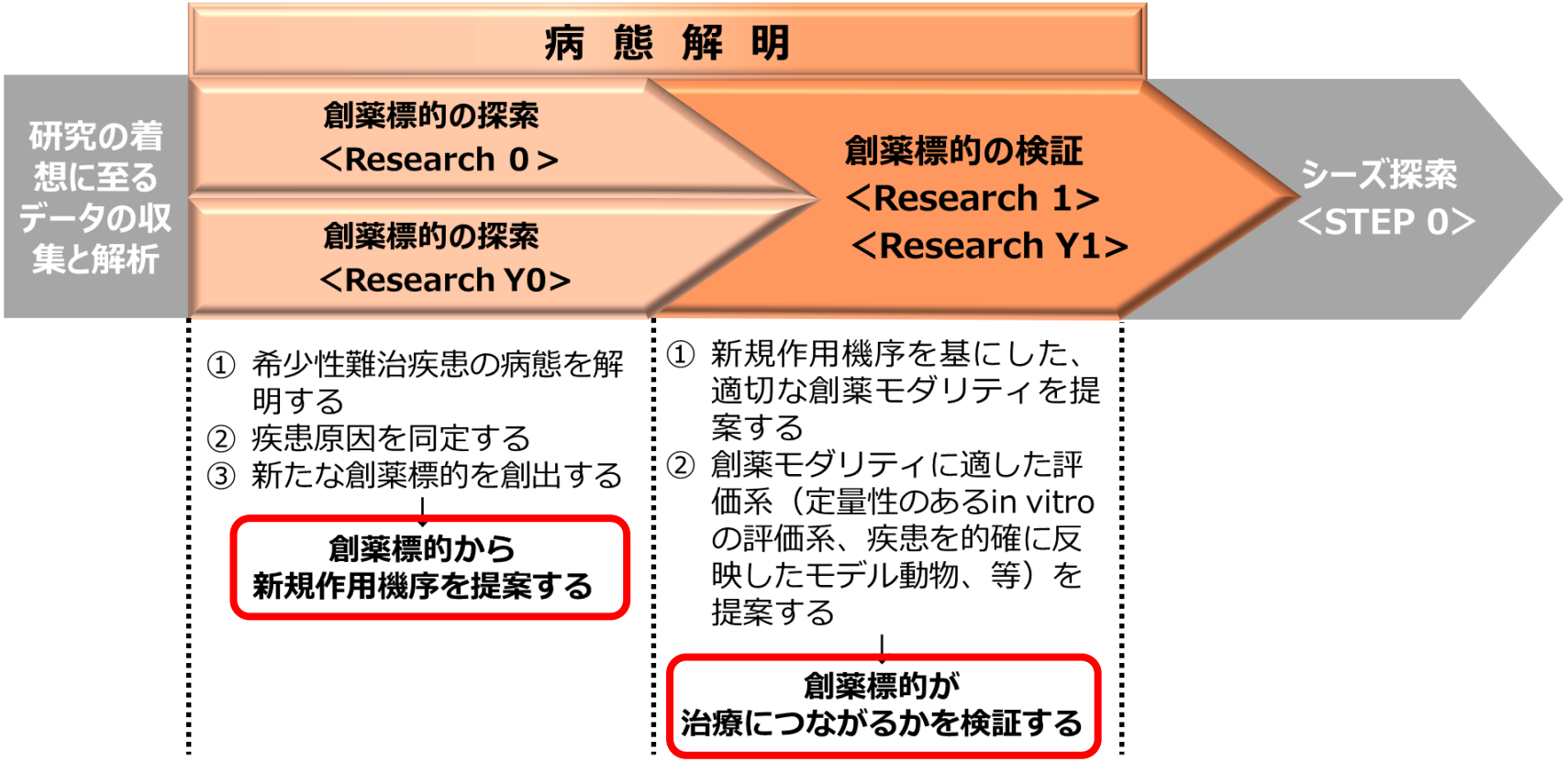
「F-3．病態解明・Research 1」及び「F-4．病態解明・若手・Research Y1」では、具体的な創薬コンセプトを実証することで、新たな治療につながる可能性を検証することを目的とする。加えて、研究開発終了後に当事業の医薬品ステップあるいは再生等ステップへ進むことを目標とする。

Research 0、Research Y0、Research 1、Research Y1は、新規作用機序による画期的な診断・治療・予防法の開発を推進する。

Copyright 2025 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

公募の背景及び目標

本公募枠の主たる目的は病態解明を通じて、創薬標的を創出し、検証することです。



Copyright 2025 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

求められる成果、採択条件、留意事項

（４）研究終了後に求められる成果

研究期間終了後までに求められる成果が記載されています。(a)～(c)のうち、公募枠毎、Ｆ１からF4に共通の項目がありますので、それぞれご確認ください。

（６）採択条件

採択条件が満たされない場合は不採択となります。

(a)～(e)はF１からF4に共通の項目です。(h)～(g)は公募枠毎ですので、必ずご確認のうえ、提案書を作成ください。

（７）留意事項

提案書の作成に際し、留意いただく事項です。F1からF4に応募される場合は、必ずご確認のうえ、提案書作成ください。

Copyright 2025 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

提出書類に関して

- 提案する研究開発の中でヒト全ゲノムシークエンス解析を実施する場合、ヒト全ゲノムシークエンス解析プロトコール様式を提出することは必須となっています。

- ヒト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。

Copyright 2025 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

提案書に関して

- 公募要領（「公募対象となる研究開発課題の概要」以外も含めて）を確認の上、作成してください
- 提案書記載要領を確認の上（コメント、青字）、作成してください。
- チェックリストは必ず該当・非該当を確認し、提案内容及び提出資料に漏れの無いようにしてください。
- 提案書に記載されている留意事項も、必ずご確認ください。
- 【1.2研究開発全体の内容】の「1．」の「【将来展望】」と「３．」のロードマップは内容を一致させてください。
- 「13．研究業績」は本研究提案に関連する学術雑誌等に発表した論文・著書のうち、1.2.1概要等に引用した文献から主要な論文５報を抽出し、概要欄に記載された参照番号順に記載し、業績との関係性がわかるように紐付けてください。概要欄に引用した論文以外は記載しないでください

Copyright 2025 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

提案書に関して

- 「12. 研究費の応募・受入等の状況・エフォート」の記載内容で、現在申請中・申請予定の研究助成等について、本研究提案の選考中にその採否等が判明するなど、記載内容に変更が生じた際は、速やかにメールにてご連絡ください。
- 応募する公募枠と提案内容が一致しているか、再度確認してください。

Copyright 2025 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

選考スケジュール

提案書類受付期間	**令和7年10月8日(水)～令和7年11月25日(火)【午前12時】(厳守)**
書面審査	令和7年12月上旬 ～令和8年1月上旬(予定)
ヒアリング審査(Web形式)	令和8年1月30日(金)～2月10日(火)(予定)
採択可否の通知	令和8年3月上旬(予定)
研究開発開始(契約締結等)日	令和8年4月上旬(予定)

- 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。
- 提案書類受付期間終了後、選考期間を通じて、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)。
- 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ご連絡します(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、Ⅱ-第1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、参照してください。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。
- 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。

Copyright 2025 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

申請時の注意（e-Rad）

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「研究機関処理中申請中」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、応募は完了していません。 ・所属機関の承認手続を必ず行ってください。
②研究機関の承認の手続きが完了後	・申請の種類（ステータス）が「配分機関処理中申請中」となります。 ・この表示になっていれば、応募完了です。 ・公募期間終了時点で「配分機関処理中」となっていない提案書類は無効となります。
③AEMDが受理	・申請の種類（ステータス）が「受理済」となります。

- (a)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が契約開始後原則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%以上であることを必須とする。

研究者（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」）及び研究機関（研究開発代表機関及び委託先）は応募時までにe-Rad（府省共通研究開発管理システム）に登録されている必要があります。

- e-Radの登録手続きに日数を要する場合がありますので、2週間以上の余裕をもって登録手続きをしてください（登録済の方でも、登録情報に変更があった場合には、速やかにe-Rad登録情報を変更してください。）。
- 応募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。
- 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してください。（具体的な操作についてはe-Radポータルサイトの研究者用マニュアルを参照してください。）
- 受付期間終了後に提出した提案書類を差し替えることはできません。
- PDFファイルは20MB以下（それぞれ1ファイルあたり）としてください。

Copyright 2025 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

問い合わせ先

公募要領の表紙に記載されている、<問合せアドレス>と同じです

照会内容	連絡先
公募要領の記載内容、提案書類の記載方法について	E-mail: rare-koubo”at”amed.go.jp ※お問い合わせは必ずE-mailでお願いいたします。 ※E-mailは上記アドレス“at”の部分を@に変更してください。 ※本文中に応募予定の公募枠を記載してください。
e-Radシステムの操作方法について	<e-Rad ポータルサイトヘルプデスク> https://www.e-rad.go.jp/contact.html 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(平日のみ、土・日・祝日及び年末年始(12月29日～1月3日)を除く)

公募情報の更新がある場合は、AMEDホームページに掲載します。
適宜ご参照ください。
https://www.amed.go.jp/koubo/03001/02/B 00001.html

Copyright 2025 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

質疑

ご清聴ありがとうございました。

Copyright 2025 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.