

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2次公募説明会

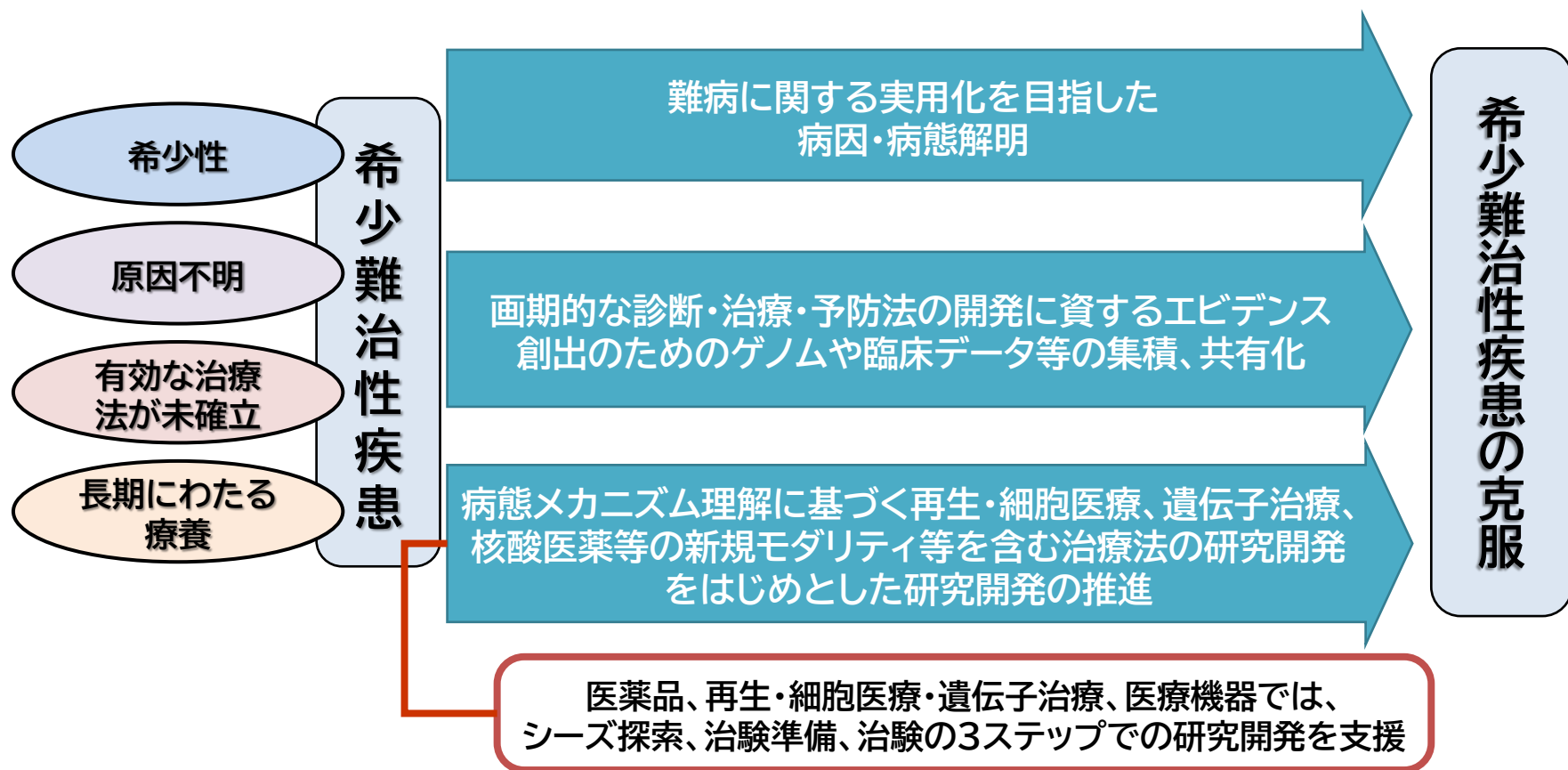
令和8年6月2日（火）
10:30～11:30
オンライン開催

本日は、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、いましてばらくお待ちください。

- 質問は、チャットへの書き込みまたは、説明終了後の質疑応答時間をお願いします。
- チャットで質問をする場合は、「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。
- 質疑応答時間に質問を希望する場合は挙手ボタンを押してください。司会者からミュートが解除された後に発言してください。
- 説明会終了後に表示されるアンケート画面にて、質問を行うことも可能です。この場合、メールにて後日回答いたします。
- 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。
- 主催者による記録のため、本説明会の内容を録音・録画すること、ご承知おきください。

難治事業概要

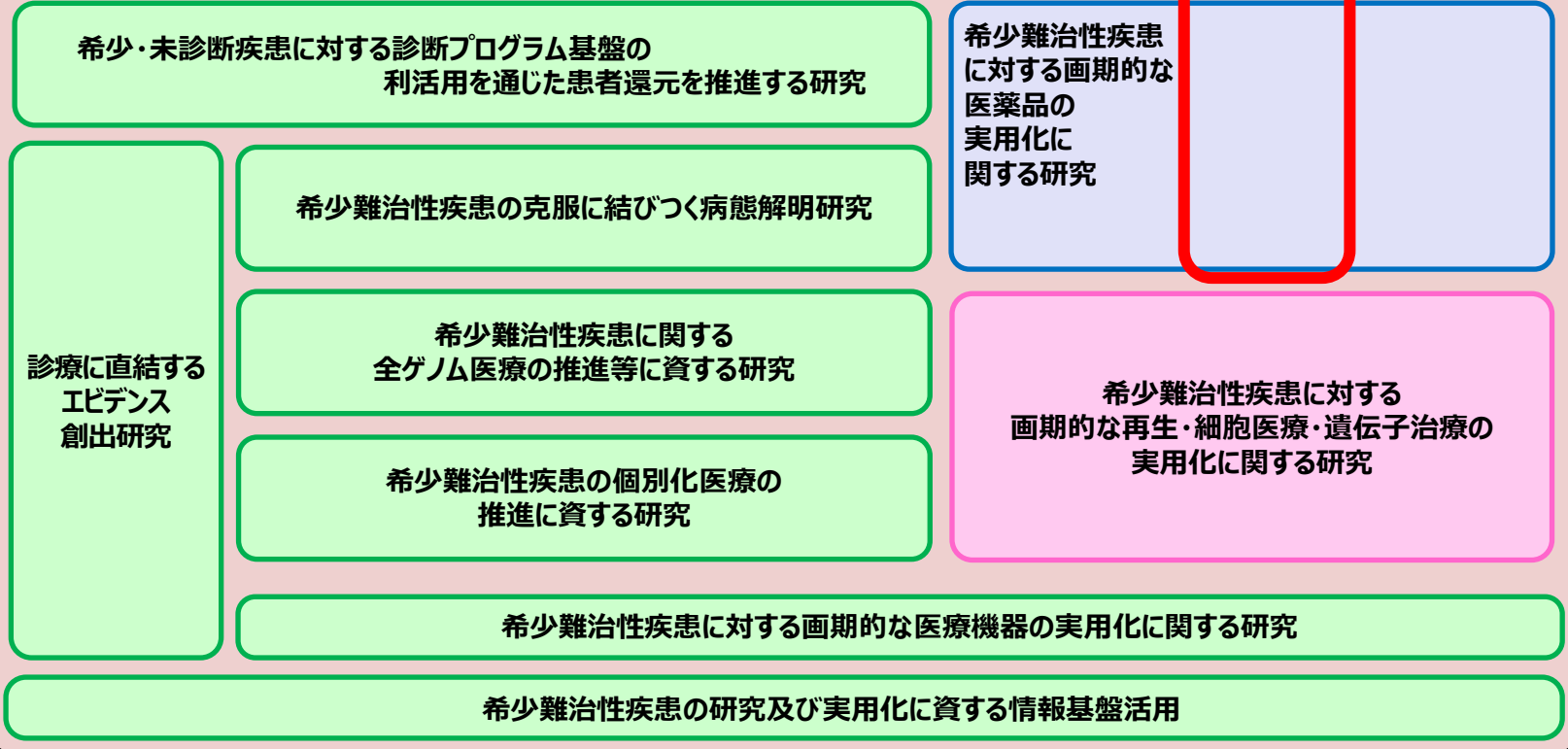
- 当事業では、「希少性」、「原因不明」、「効果的な治療方法未確立」、「生活面への長期にわたる支障」の4要件を満たす希少難治性疾患を対象としています。
- 「がん」「生活習慣病」「精神疾患」等、他のAMED事業において組織的な研究の対象となっている疾病は、希少性や難治性を有していても、本事業の支援対象とはなりません。




難治事業概要



【AMED】 難治性疾患実用化研究事業



 本公募の対象分野

公募内容の概要



分野等	公募研究開発課題名	研究開発費の規模 (間接経費を含みます)	研究開発実施予定期間	新規採択課題 予定数
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) (間接経費含まず)	最長 1年6ヶ月 令和8年10月(予定) ～令和9年度末	0～4 課題 程度

- 研究開発費の規模に記載されている金額は直接経費です。間接経費は含まれません。また、各年度の上限の金額を超えないよう提案書を作成してください。
- 今回の公募は、本事業の通常の公募に比べ研究開発実施予定期間が短くなっていることにご留意下さい。

公募の趣旨について



- 本公募は、大学、研究機関、企業等において創出された優れた「成果やシーズ」をもとに、希少難治性疾患の克服に向けた医薬品の実用化を目指す提案を対象としています。
- 本公募における研究開発期間は1年半と短期であるため、応募時に到達しているべき研究開発段階がこれまでの公募に比べ厳しくなっております。これらは、【採択条件】として設定されています。これらを満たしていない提案は採択されません。
- 終了時まで次ステップに進める状況であることが求められます。これらは、達成すべき【目標】として設定されています。これらの達成が見込めない提案は採択されません。

採択条件と達成すべき目標

本公募では、最長1年6ヶ月での目標達成が可能となる様、試験計画・実施体制が予め整備出来ており、研究開始後速やかに非臨床試験が開始できることが求められます。

【主な採択条件】

- 最適化された開発候補物が1つに特定済
 - *代替する開発候補物に関する取り組み、他の開発候補物の探索は実施内容に含めない
- 非臨床試験（薬理試験、薬物動態試験、毒性試験）の詳細なプロトコルが確定
- 非臨床試験内容に関してPMDA対面助言もしくは事前面談*を実施し、充足性、妥当性について確認済
 - *事前面談のみ実施済の場合は、12月までに対面助言実施予定であること
- 非臨床試験で使用する原薬を確保済
- 非臨床試験の実施体制を構築済
- 治験あるいは薬事申請経験者が参加

【主な目標】

- 非臨床試験を完了
- 治験用製剤の確保
- 治験実施計画書作成

応募資格者(特に海外からの応募)



- 詳細については、公募要領3.1をご確認ください。
- 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でも、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。
- AMED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、AMEDと代表研究機関が委託研究開発契約を締結することを求めています。
- そのため、採択決定通知日(9月上旬を予定)から90日以内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。

既存採択課題からの応募について



難治性疾患実用化研究事業の医薬品ステップ1に採択された研究開発課題の研究代表者が本公募に提案する場合は、以下の対応とする。

既存課題種別		提案可否
医薬品ステップ1 2026年度までに 課題終了済		提案可能 次ステップにつながる有望な候補ではあるものの、進捗遅れや予算不足によりステップ2の公募に出すのが難しい課題からの提案を期待する。事後評価等におけるコメントをもとに何が足りなかったか問題点を明確にし、改善した提案を期待する。
医薬品ステップ1 2026年度に研究実施中	研究実施中の課題と、 同一候補化合物かつ同一疾患を対象 としている場合	提案可能だが、重複期間分の研究費を支出しない 2026年度終了の課題：新規に採択された場合、研究期間が半年間重複する。新規採択課題には 2026年度分の研究費を支出しない 。 2027年度終了、2028年度終了の課題：採択されても研究費を支出しない。
	研究実施中の課題と、 異なる候補化合物または異なる疾患を対象 としている場合	提案可能 ただし採択によって既存課題の実施を妨げないことが必要です。

提案書作成において、特にご留意頂きたい点をまとめます。

- 提案書記載要領に記載された、留意点、コメント等を良くお読み頂いた上で提案書を作成ください。
- 提案書等に青字で書かれている記載例、留意点は、削除した上で提出ください。
- **【採択条件】を満たしていない提案、【目標】および【求められる成果】の達成が見込めない提案は採択されません。**これらをすべて満たしていることが、過不足なく、明確に伝わるよう、提案書を作成してください。これらの妥当性を裏付ける資料(治験実施計画書、関連論文など)がある場合は、必要に応じて添付してください。
- **「研究開発ロードマップ」の提出**を必須としています。ゴールである薬事承認/実用化を起点として、到達するために必要となる実施項目、マイルストーン、提案自体のロードマップ上の位置づけ等について、現時点で想定している範囲で記載ください。現時点で未定の内容については「未定」として頂いて差し支えありません。

公募要領を参照の上、必要な書類の提出をお願いします。特に”**必須**”と記載されている資料については、**提出がなければ不受理**となりますので、ご注意ください。

◆ 公募要領p.11より抜粋)

(8) 提出が必要な資料について
本公募研究課題に関する提出書類一覧

◎必須提出資料 ★該当する場合は提出必須 ○任意提出資料 ×提出不要

資料番号	提出物	提出書類 ^{※1}	e-Research ^{※2}	備考
1	研究開発提案書	◎	単独ファイルとして提出	指定様式
2	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(2~3)	指定様式
3	研究開発提案書別紙(業事承認までのロードマップ)	◎		指定様式
4	PMDA RS 戦略相談の事前面談を実施済みの場合は相談要旨(様式自由;アカデミア側作成資料で可)、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)	◎		様式自由
5	非臨床試験等で使用する原薬の確保状況を示す書類	◎	統合ファイルとして提出(4~7)	様式自由
6	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	○		様式自由
7	治験薬の確保や企業導出に関する同意資料または活動計画に関する資料	○		
8	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)	○		様式自由
9	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(8,9)	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	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)※3	★	単独ファイルとして提出	指定様式

“◎”の書類は、提出が「必須」です。

“指定様式”の書類は、公募ページからダウンロードした「ひな形」に必要な事項を記入の上、提出してください。

“○”の書類は、提出は「必須」ではないものの、提出された場合は、審査に使用されます。

“★”の書類は、ヒト全ゲノムシーケンス解析を実施する場合、提出が「必須」です。

選考スケジュール

提案書類受付期間	令和8年5月19日(火)～令和8年6月15日(水)【午前12時】(厳守)
書面審査	令和8年6月中旬 ～令和8年7月上旬(予定)
ヒアリング審査(Web形式)	令和8年7月21日(火)
採択可否の通知	令和8年8月上旬(予定)
研究開発開始(契約締結等)日	令和8年10月上旬(予定)

- 受付期間後は、**全ての提案書類について一切受理できません**。受付期間後の差し替えもできません。
- 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)。
- 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、AMEDウェブサイトの公募情報ページに掲載しますので、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。

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	<ul style="list-style-type: none">・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	<ul style="list-style-type: none">・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	<ul style="list-style-type: none">・申請の種類(ステータス)が「受理済」となります。

- 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、ZIP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。

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をお願いいたします。 ※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

本説明は概要の紹介です。
応募に先立ち、公募要領、提案書記載
要領を必ずお読みください。

ご清聴ありがとうございました。