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９年度 公募説明資料

創薬事業部　レギュラトリーサイエンス課

説明事項

1. 臨床研究・治験推進研究事業について
2. 令和９年度の公募対象課題について
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

説明事項

1. 臨床研究・治験推進研究事業について
2. 令和９年度の公募対象課題について
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

公募要領　P.1

【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
- 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。
(開発対象物は**医薬品医療機器等法における[医薬品]のみ**です。)

１．臨床研究・治験推進研究事業について

公募要領　P.2

事業実施体制

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（地方独立行政法人 北九州市立病院機構 理事長）

ＰＯ：佐藤　典宏（国立大学法人北海道大学　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）
　　牧江　俊雄（公益社団法人地域医療振興協会 あま市民病院 総合診療科）

説明事項

1. 臨床研究・治験推進研究事業について
2. 令和９年度の公募対象課題について
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

2．令和９年度の公募対象課題について

研究開発費の規模・研究開発期間・採択課題予定数等

公募要領　P.3

#	分野、領域、テーマ等		研究開発費の規模 （間接経費等を含まず）※1	研究開発実施 予定期間	新規採択課題 予定数
1	【ステップ1】プロトコル作成に関する研究	① 特定臨床研究・医師主導治験のプロトコル作成	1課題当たり年間 4,000千円（上限）	令和9年4月（予定）～ 令和9年度末	0～5課題程度
2	【ステップ2】患者ニーズの高い、臨床研究・医師主導治験の実施に関する研究	① 特定臨床研究の実施	1課題当たり年間 30,000千円（上限）	令和9年4月（予定）～ 令和12年度末	0～2課題程度
3		② 医師主導治験（新有効成分含有医薬品）の実施	1課題当たり年間 60,000千円（上限）	令和9年4月（予定）～ 令和12年度末	0～4課題程度
4		③ 医師主導治験（新効能医薬品又は新用量医薬品）の実施	1課題当たり年間 50,000千円（上限）	令和9年4月（予定）～ 令和12年度末	0～4課題程度
5		④ 小児を対象とした特定臨床研究・治験の実施	1課題当たり年間 50,000千円（上限）	令和9年4月（予定）～ 令和12年度末	0～3課題程度
6		⑤ 認知症を対象とした特定臨床研究・治験の実施	1課題当たり年間 80,000千円（上限）	令和9年4月（予定）～ 令和10年度末 ※2	0～1課題程度
7		⑥ ドラッグ・ロスの解消に向けた医師主導治験の実施	1課題当たり年間 60,000千円（上限）	令和9年4月（予定）～ 令和12年度末	0～1課題程度
8		⑦ 医師主導治験の完遂	1課題当たり年間 15,000千円（上限）	令和9年4月（予定）～ 令和9年度末	0～3課題程度
9	【ステップ2】新しい手法を活用する、臨床研究・医師主導治験の実施に関する研究	⑧ 特定臨床研究・医師主導治験の実施（患者レジストリ、DCT、AIを活用した治験業務支援等）	1課題当たり年間 50,000千円（上限）	令和9年4月（予定）～ 令和12年度末	0～1課題程度

- 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
- 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

２．令和９年度の公募対象課題について

【ステップ１】プロトコル作成に関する研究
特定臨床研究・医師主導治験のプロトコル作成

公募要領　P.6～P.7

#	分野、領域、テーマ等		研究開発費の規模 （間接経費等を含まず）※1	研究開発実施 予定期間	新規採択課題 予定数
1	【ステップ1】プロトコル作成に関する研究	① 特定臨床研究・医師主導治験のプロトコル作成	１課題当たり年間 4,000千円（上限）	令和9年４月（予定）～ 令和9年度末	0～5課題程度

○公募内容：

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・用量での薬事承認を目指す研究を対象とします。企業導出が見込める医薬品において、IRB・CRB・倫理審査委員会への申請や治験届に結びつくような実行性の高いプロトコル作成を支援します。

○研究期間：約１年間（令和９年度末まで）

２．令和９年度の公募対象課題について

【ステップ１】プロトコル作成に関する研究
特定臨床研究・医師主導治験のプロトコル作成

公募要領　P.6～P.7

○採択条件：

（a）開発対象物が薬機法における医薬品であること

（b）プロトコルを作成する対象は、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、対象疾患、成果達成の可能性が明確であること

（c）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

（d）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

○支援終了時に求められる成果：

プロトコル・同意説明文書の作成、特定臨床研究・治験実施のための準備の完了（試験薬の確保、倫理審査委員会の準備等）

2．令和９年度の公募対象課題について

【ステップ１】プロトコル作成に関する研究
特定臨床研究・医師主導治験のプロトコル作成

公募要領　P.6～P.7

○主な留意事項：

- RS戦略相談の対象外となる研究開発課題は原則公募の対象外とします。RS戦略相談以外の相談区分で対面助言を受ける場合であっても、研究開発費の追加交付は行いません。
- 未承認・適応外の医薬品等を用いる特定臨床研究を実施する際には、全て保険外診療として行うか、先進医療等の保険外併用療養費制度の枠組みで行っていただく必要があります。特定臨床研究のプロトコル作成の研究課題を提案される場合はあらかじめルールをご確認ください。

※1 臨床研究法について：mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000163417.html
※2 未承認又は適応外の医薬品等を用いる特定臨床研究における保険診療について：001516192.pdf
※3 保険外併用療養費制度について： https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/kenkou_iryou/iryouhoken/sensiniryo/index_00007.html

（そのほかの留意事項は公募要領2.3.1でご確認ください）

○研究開発費の用途：

主にプロトコル作成費用（ARO支援費用を含む）、IRB・CRB・倫理審査委員会審査料、プロトコル作成や臨床試験・治験の準備に係る打合せ時の旅費等を対象としています。原則、非臨床試験や当該プロトコルに基づく臨床試験・治験の実施費用は対象外です

２．令和９年度の公募対象課題について

【ステップ２】患者ニーズの高い、臨床研究・医師主導治験の実施に関する研究

公募要領　P.7～P.11

#	分野、領域、テーマ等		研究開発費の規模 （間接経費等を含まず）※1	研究開発実施 予定期間	新規採択課題 予定数
2	【ステップ2】患者ニーズの高い、臨床研究・医師主導治験の実施に関する研究	① 特定臨床研究の実施	１課題当たり年間 30,000千円（上限）	令和9年４月（予定）～ 令和12年度末	0～2課題程度
3		② 医師主導治験（新有効成分含有医薬品）の実施	１課題当たり年間 60,000千円（上限）	令和9年４月（予定）～ 令和12年度末	0～4課題程度
4		③ 医師主導治験（新効能医薬品又は新用量医薬品）の実施	１課題当たり年間 50,000千円（上限）	令和9年４月（予定）～ 令和１２年度末	0～4課題程度
5		④ 小児を対象とした特定臨床研究・治験の実施	１課題当たり年間 50,000千円（上限）	令和9年４月（予定）～ 令和１２年度末	0～3課題程度
6		⑤ 認知症を対象とした特定臨床研究・治験の実施	１課題当たり年間 80,000千円（上限）	令和9年４月（予定）～ 令和10年度末 ※2	0～1課題程度
7		⑥ ドラッグ・ロスの解消に向けた医師主導治験の実施	１課題当たり年間 60,000千円（上限）	令和9年４月（予定）～ 令和12年度末	0～1課題程度
8		⑦ 医師主導治験の完遂	１課題当たり年間 15,000千円（上限）	令和9年４月（予定）～ 令和9年度末	0～3課題程度

２．令和９年度の公募対象課題について

【ステップ２】患者ニーズの高い、臨床研究・医師主導治験の実施に関する研究

公募要領　P.7~P.11

○公募テーマ：

① 特定臨床研究の実施
② 医師主導治験（新有効成分含有医薬品）の実施
③ 医師主導治験（新効能医薬品又は新用量医薬品）の実施
④ 小児を対象とした特定臨床研究・治験の実施
⑤ 認知症を対象とした特定臨床研究・治験の実施
⑥ ドラッグ・ロスの解消に向けた医師主導治験の実施
⑦ 医師主導治験の完遂

○目標（共通）：

医療ニーズは高いものの、国内では未承認又は適応外の医薬品を早期に薬事承認に繋げることを目的とします。本公募研究開発課題では、既にプロトコ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、薬事承認にむけた次の段階へ繋げることを目標とします（提案時にプロトコル骨子まで作成済でプロトコルが未完成の場合は【ステップ1】に応募してください）。

２．令和９年度の公募対象課題について

【ステップ２】患者ニーズの高い、臨床研究・医師主導治験の実施に関する研究

○目標（【ステップ2】①～⑦の目標）：

公募要領　P.7~P.11

① 特定臨床研究の実施	臨床研究法を遵守した特定臨床研究を実施し、治験や薬事承認申請等につながる科学的評価が可能なデータの収集を目指します。
② 医師主導治験（新有効成分含有医薬品）の実施	日本で見出された基礎研究の成果を薬事承認につなげるため、アカデミアと製薬企業又はベンチャー企業が連携して医薬品を創出することを目指します。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）の薬事承認を目指す研究を対象とします。
③ 医師主導治験（新効能医薬品又は新用量医薬品）の実施	国内既承認の医薬品の新たな治療効果等のエビデンス構築のための研究を支援し、新たな効能・効果又は用法・用量での薬事承認（承認事項一部変更承認）を目指します。
④ 小児を対象とした特定臨床研究・治験の実施	小児用医薬品の開発（新有効成分含有医薬品、新効能医薬品、剤形追加に係る医薬品のいずれも応募可能）を推進し、医療現場において利用可能とすることを目指した特定臨床研究・治験（医師主導治験あるいは企業治験）の実施にかかる課題を募集します。 ＊【ステップ２】④は、実施する治験のステップ（相）は問いませんが、企業治験についてはスタートアップ企業（中小企業の内、設立10年以内）が主体となって実施されるものを対象とします。
⑤ 認知症を対象とした特定臨床研究・治験の実施	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）を目指した課題を募集します。 ＊【ステップ２】⑤は、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。

2．令和９年度の公募対象課題について

【ステップ２】患者ニーズの高い、臨床研究・医師主導治験の実施に関する研究

公募要領　P.7~P.11

⑥ ドラッグ・ロスの解消に向けた医師主導治験の実施	欧米等で承認されているが国内では承認されていない、あるいは承認が遅延している状況が海外ベンチャー企業発の医薬品ならびに希少疾患や小児領域等の医薬品を中心に広がりつつあり、日本人患者に有効な治療選択肢を提供できずに不利益をもたらすことが問題となっております。 本公募は、欧米等６ヵ国（アメリカ、イギリス、ドイツ、フランス、カナダ、オーストラリア）以下、「欧米等６ヵ国）という。）のいずれかの国又は欧州EMAで承認（一定のエビデンスに基づき特定の用法・用量で広く使用されている場合を含む）されているが、国内では承認されていない医薬品及び適応（以下、「未承認薬・適応外薬※」という。）について薬事承認を目指す研究を対象とします。 ※未承認薬、適応外薬とは （１）未承認薬：欧米等６ヵ国のいずれかの国又は欧州EMAのいずれかの国で承認された医薬品であって、医療上その必要性が高いもの （２）適応外薬：要望対象となる適応（効能・効果、用法・用量の両方又はいずれかが既承認の適応と異なるもの。本邦で承認されていない剤型、投与経路の追加を必要とするものを含む）について、以下のいずれかの基準を満たす場合 1．欧米等６ヵ国のいずれかの国又は欧州EMAのいずれかの国で承認された適応であって、医療上その必要性が高いもの
⑦ 医師主導治験の完遂	医師主導治験は十分に検討された計画のもと実施するものですが、社会的な状況の変化等により、被験者の登録が予想よりも進まない、試験遂行に必要な薬の入手に予想以上の時間を要したなどの当初予期されなかった理由で試験が遅延し、公的研究費の支援期間内に試験が完遂しないケースが存在します。患者さんのご協力の下に実施された試験を、薬事承認、あるいは薬事承認にむけた次の段階の臨床試験に進めるためには試験の完遂が必須であり、そのための支援が求められています。 本公募では、公的研究費で医師主導治験を既に実施中であり支援期間が令和8年度末で終了する課題について、令和９年度末までに試験完遂が見込まれる課題を募集します。 ※本公募における試験の完遂とは、実施医療機関における全ての被験者対応が終了し総括報告書の完成までを指します。

２．令和９年度の公募対象課題について

【ステップ２】患者ニーズの高い、臨床研究・医師主導治験の実施に関する研究

公募要領　P.7~P.11

○研究期間：

①～④、⑥　最長４年間（令和９年度～令和12年度）
⑤　最長２年間（令和９年度～令和10年度）
⑦　最長１年間（令和９年度）

○採択条件：

（a）開発対象物が薬機法における医薬品であること
（b）研究開発提案時に、プロトコル（IRB・CRBへの提出版、または案）を資料として提案書に添付可能であること
（c）医師主導治験について、研究開発提案時までにPMDA相談を実施し、PMDAにその開発方針を否定されていないこと。
（d）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。
（e）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
（f）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
（g）登録症例数については、生物統計家の意見を取り入れたうえで、その設定根拠が明確にされていること

2．令和９年度の公募対象課題について

【ステップ２】患者ニーズの高い、臨床研究・医師主導治験の実施に関する研究

公募要領　P.7~P.11

○採択条件:（つづき）

（h）「⑥ドラッグ・ロスの解消に向けた医師主導治験の実施」については、開発対象物が薬機法における医薬品で、医療上の必要性が高い未承認薬・適応外薬に該当すること（1.1.1参照）

（i）「⑦医師主導治験の完遂」については、公的研究費の支援のもとで既に医師主導治験を実施中であるが支援期間が令和8年度末で終了するものの完遂未了または総括報告書未完成の課題であり、令和9年度末までに試験完遂が見込まれること。

○採択条件（優先事項）:

- 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分野の医薬品の実用化を目指す研究開発であること。
- 「①特定臨床研究」については、研究実施後の治験実施や、薬事申請につながるような科学的評価が可能なデータ収集を目指すものであること。
- 「②医師主導治験（新有効成分含有医薬品）」については、アカデミアの基礎研究成果、製薬企業等に眠っている医薬品シーズ、未利用技術（製剤化技術、DDS等）、製薬企業からベンチャー企業等へスピンアウト、カーブアウトされたシーズ等を活用して、医薬品の実用化を目指す研究開発であること。
- 課題提案時に企業との連携体制が構築され、かつその連携企業は期待される結果が得られた際は薬事承認の取得に向けた開発及び薬事承認申請を行う意思があること

２．令和９年度の公募対象課題について

【ステップ２】患者ニーズの高い、臨床研究・医師主導治験の実施に関する研究

公募要領　P.7~P.11

○支援終了時に求められる成果：

特定臨床研究・治験の実施及び総括報告書等の提出、企業への導出

○主な留意事項：

- 研究開発期間全体の目標を達成するためのスケジュールを作成・提示してください。
  - ✓ 研究開発項目ごとのマイルストン及び達成時期を可能な限り具体的に記載
  - ✓ 複数年度の研究計画については、年度ごとの計画及び達成目標を可能な限り具体的に記載
- 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、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に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
- 「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

○研究開発費の用途：

主に特定臨床研究・治験の準備及び実施に係る費用（ARO支援費用を含む）、試験準備・実施に係る打合せ時の旅費等を対象とします。2年目以降の研究開発費については、中間評価等の結果や今後の予算状況により変動することがあります。各年度の実施内容に応じた適正な経費計画を立ててください。

２．令和９年度の公募対象課題について

【ステップ２】患者ニーズの高い、臨床研究・医師主導治験の実施に関する研究

公募要領　P.7~P.11

○その他の留意事項：

【ステップ2】は、プロトコル作成済みの課題が対象です。プロトコル未完成の場合は【ステップ1】に応募してください。
小児に関する研究開発の場合は、「④小児を対象とした特定臨床研究・治験の実施」に応募してください。
「⑤認知症を対象とした特定臨床研究・治験の実施」の研究開発期間はR9～R10の2年度です。
ドラッグ・ロスに該当する研究開発の場合は「⑥ドラッグ・ロスの解消に向けた医師主導治験の実施」に応募してください。
「⑥ドラッグ・ロスの解消に向けた医師主導治験の実施」は、欧米等６ヵ国（アメリカ、イギリス、ドイツ、フランス、カナダ、オーストラリア）以下、「欧米等６ヵ国）という。）のいずれかの国又は欧州EMAで承認（一定のエビデンスに基づき特定の用法・用量で広く使用されている場合を含む）されているが、国内では承認されていない医薬品及び適応について薬事承認を目指す研究が対象です。
「⑦医師主導治験の完遂」は、公的研究費で医師主導治験を既に実施中であり支援期間が令和8年度末で終了する課題について、1年以内で試験完遂（総括報告書の完成）が見込まれる課題が対象です。

２．令和９年度の公募対象課題について

【ステップ２】患者ニーズの高い、臨床研究・医師主導治験の実施に関する研究

公募要領　P.7~P.11,P.27

○保険外併用療養費制度について：

未承認・適応外の医薬品等を用いる特定臨床研究を実施する際には、全て保険外診療として行うか、先進医療等の保険外併用療養費制度の枠組みで行っていただく必要があります。

※1 臨床研究法について：mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000163417.html
※2 未承認又は適応外の医薬品等を用いる特定臨床研究における保険診療について：001516192.pdf
※3 保険外併用療養費制度について：
https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/kenkou_iryou/iryouhoken/sensiniryo/index_00007.html

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※2を参照してください。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※3を参照してください。

※２ https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/kenkou_iryou/iryouhoken/sensiniryo/index.html
※３ https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000163417.html

2．令和９年度の公募対象課題について

【ステップ２】新しい手法を活用する、臨床研究・医師主導治験の実施に関する研究

公募要領　P.11~14

#	分野、領域、テーマ等		研究開発費の規模 （間接経費等を含まず）※1	研究開発実施 予定期間	新規採択課題 予定数
9	【ステップ2】新しい手法を活用する、臨床研究・医師主導治験の実施に関する研究	⑧ 特定臨床研究・医師主導治験の実施（患者レジストリ、DCT、AIを活用した治験業務支援等）	１課題当たり年間 50,000千円（上限）	令和9年４月（予定）～ 令和１２年度末	0～1課題程度

○目標（【ステップ2】⑧の目標）：

⑧ 特定臨床研究・医師主導治験の実施（患者レジストリ、DCT、AIを活用した治験業務支援等）	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・用量での薬事承認を目指す研究を対象とし、更に以下の通り新しい手法を活用する研究課題を公募します。医薬品の臨床開発コストの増大や開発期間の長期化という課題を解決するために、臨床研究・治験の効率化が求められています。具体的には、患者レジストリを活用した被験者リクルートの効率化や試験比較対照群への応用、DCTによる患者の利便性向上による試験の円滑な推進、臨床研究・治験の質の向上や効率化に資するAIの活用等、新しい手法を用いた様々な活動がなされています。本公募では、これらの新しい手法（患者レジストリ、DCT、AIを活用した治験業務支援等）を臨床研究・医師主導治験に活用して、迅速な薬事承認申請を目指すことを目標とします。

２．令和９年度の公募対象課題について

【ステップ２】新しい手法を活用する、臨床研究・医師主導治験の実施に関する研究

公募要領　P.11~14

○研究期間：

⑧　最長４年間（令和９年度～令和12年度）

○採択条件：

（a）開発対象物が薬機法における医薬品であること
（b）研究開発提案時に、プロトコル（IRB・CRBへの提出版、または案）を資料として提案書に添付可能であること
（c）医師主導治験について、研究開発提案時までにPMDA相談を実施し、PMDAにその開発方針を否定されていないこと。
（d）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。
（e）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
（f）登録症例数については、生物統計家の意見を取り入れたうえで、その設定根拠が明確にされていること

２．令和９年度の公募対象課題について

【ステップ２】新しい手法を活用する、臨床研究・医師主導治験の実施に関する研究

公募要領　P.11~14

○採択条件＜患者レジストリの場合＞：

- 患者レジストリを活用した特定臨床研究・医師主導治験に係る研究で、活用する患者レジストリの概要、活用目的や方法が示されていること
- 以下のいずれかに患者レジストリを活用すること
  - 被験者リクルート
  - 試験対照群
- 活用する患者レジストリが既に構築されており、患者レジストリ検索システム（https://cinc.jihs.go.jp/）に登録済み又は登録予定であること
  ※新たに患者レジストリを構築、又は既存の患者レジストリの改良を伴う提案は本公募課題の対象外となります
- 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

○採択条件＜DCTの場合＞：

- DCTの具体的な方法が提示されていること

2．令和９年度の公募対象課題について

【ステップ２】新しい手法を活用する、臨床研究・医師主導治験の実施に関する研究

公募要領　P.11~14

○採択条件＜AIを活用した治験業務支援の場合＞：

- AIを活用する際には、使用するAIモデル及びバージョン、使用目的・具体的な役割（症例データ入力、治験関連文書作成、患者リクルート、異常値などのデータ抽出等）・影響範囲・成果物の評価方法等を示し、臨床研究・治験の質の向上や効率化にどのように繋がるのかを明確にすること
- AIを活用した際に生じるハルシネーション等の問題に対する対応、成果物の品質管理をどのように行うのか明確にし、その結果を報告書に示すこと

○採択条件（優先事項）：

- 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分野の医薬品の実用化を目指す研究開発であること。
- 実用化（薬事承認）までのロードマップが明確に提示されていること
- 当該研究課題終了後に治験の実施や、薬事申請につながるような科学的評価が可能なデータ収集を目指すものであること

２．令和９年度の公募対象課題について

【ステップ２】新しい手法を活用する、臨床研究・医師主導治験の実施に関する研究

公募要領　P.11~14

○支援終了時に求められる成果：

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

○主な留意事項：

- 研究開発期間全体の目標を達成するためのスケジュールを作成・提示してください。
  - ✓ 研究開発項目ごとのマイルストン及び達成時期を可能な限り具体的に記載
  - ✓ 複数年度の研究計画については、年度ごとの計画及び達成目標を可能な限り具体的に記載
- 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、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に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
- 「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

○研究開発費の用途：

主に特定臨床研究・治験の準備及び実施に係る費用（ARO支援費用を含む）、試験準備・実施に係る打合せ時の旅費等を対象とします。2年目以降の研究開発費については、中間評価等の結果や今後の予算状況により変動することがあります。各年度の実施内容に応じた適正な経費計画を立ててください。

○その他の留意事項：

【ステップ2】は、プロトコル作成済みの課題が対象です。プロトコル未完成の場合は【ステップ1】に応募してください。

2．令和９年度の公募対象課題について

【ステップ２】新しい手法を活用する、臨床研究・医師主導治験の実施に関する研究

公募要領　P.11~14

○保険外併用療養費制度について：

未承認・適応外の医薬品等を用いる特定臨床研究を実施する際には、全て保険外診療として行うか、先進医療等の保険外併用療養費制度の枠組みで行っていただく必要があります。

※1 臨床研究法について：mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000163417.html
※2 未承認又は適応外の医薬品等を用いる特定臨床研究における保険診療について：001516192.pdf
※3 保険外併用療養費制度について：
https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/kenkou_iryou/iryouhoken/sensiniryo/index_00007.html

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※2を参照してください。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※3を参照してください。

※２ https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/kenkou_iryou/iryouhoken/sensiniryo/index.html
※３ https://www.mhlw.go.jp/stf/seisakunitsuite/bunya/0000163417.html

説明事項

1. 臨床研究・治験推進研究事業について
2. 令和９年度の公募対象課題について
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

３．公募･審査のスケジュールについて（予定）

公募要領　P.5

- **公募期間（提案書受付期間）**

  令和8年11月4日（水）～令和8年12月3日（木）12時（厳守）

- **書面審査　令和8年12月上旬～令和9年1月上旬　予定**

- **ヒアリング審査　令和9年1月28日（木）、1月29日（金）**

  ヒアリング審査を実施する場合は、「研究開発代表者」に対して、原則として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。

- **採択可否の通知　令和9年2月中旬（予定）**

- **研究開発開始（契約締結等）令和9年4月1日（木）予定**

説明事項

1. 臨床研究・治験推進研究事業について
2. 令和９年度の公募対象課題について
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

4. 申請にあたっての留意事項について

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。
＜例＞　・提出が必須である書類の不足
　　・申請額が予算上限を超えていた場合
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。（提出時には、青字の記載例、緑字の説明文を削除してください。）**
- **書類提出はe-Rad上でアップロードしていただきます。ファイルの形式など、e-Radに記載の事項もご確認ください。**
- **ファイルサイズは、最大 15MB です。**

提案書類のe-Radのアップロード方法について

提案書以外の提出書類（参考資料に欄がないもの）は、「行の追加」を押すと点線の行が増えますので、そちらにアップロードしてください。



複数の書類をひとつのPDFファイルにしてアップロードしていただくことでも構いません

応募に必要な提案書類

公募要領　P.22～24

4.1.1　応募に必要な提案書類

4.1.1.1【ステップ1】プロトコル作成に関する研究

① 特定臨床研究・医師主導治験のプロトコル作成

No.	必須/任意	必要な提案書類	備考
1	必須	(様式1)研究開発提案書	
2	分担機関がある場合は必須	(様式2)分担機関からの承諾書	研究開発の実施体制に分担機関(企業も含む)が含まれる場合は、分担機関ごとに作成してください
3	作成済の場合は必須	治験・臨床研究のプロトコル骨子*、またはコンセプト	

応募に必要な提案書類以外の書類が提出された場合、当該書類は審査の対象としません。

*プロトコル骨子は、目的、背景・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)、試験デザイン、選択／除外基準、評価項目(主要評価項目、副次評価項目等)、統計的事項(主たる解析と判断基準、目標症例数及びその設定根拠、登録期間・追跡期間)、研究実施体制に関する記載を含むこと。

【ステップ2】の応募に必要な提案書類は次のページを参照ください

公募要領　P.22～24

4.1.1.2【ステップ2】臨床研究・医師主導治験の実施に関する研究／【ステップ2】新しい手法を活用する、臨床研究・医師主導治験の実施に関する研究

① 特定臨床研究の実施
② 医師主導治験（新有効成分含有医薬品）の実施
③ 医師主導治験（新効能医薬品又は新用量医薬品）の実施
④ 小児を対象とした特定臨床研究・治験の実施
⑤ 認知症を対象とした特定臨床研究・治験の実施
⑥ ドラッグ・ロスの解消に向けた医師主導治験の実施
⑦ 医師主導治験の完遂
⑧ 特定臨床研究・医師主導治験の実施（患者レジストリ、DCT、AI を活用した治験業務支援等）

【ステップ2】で提出いただく書類を見直しました。昨年度までと異なりますので、よくご確認ください。

No.	必須/任意	必要な提案書類	備考
1	必須	（様式1）研究開発提案書	
2	該当する場合は必須	（様式2）分担機関からの承諾書	研究開発の実施体制に分担機関（企業も含む）が含まれる場合は、分担機関ごとに作成してください
3	必須	治験・臨床研究のプロトコル ※1	
4	必須	薬事承認までの工程表　※2	

次ページに続く

5	該当する場合は必須	PMDA 対面助言記録等 ※3	
6	任意	企業との連携状況及び企業の開発意思が確認できる書類※4	
7	任意	学会や患者会等からの要望書等、医療ニーズが高いことが確認できる書類	
8	該当する場合は必須	ヒト全ゲノムシークエンス解析プロトコール様式	ヒト全ゲノムシークエンス解析を実施する場合
9	研究開発代表者の所属機関がスタートアップ企業等の場合は必須	財務状況資料※5 ・財務スコアリング※6 ・直近3年分の法人税申告書一式※7 ・資金繰り表※8	公募テーマのうち、④と⑤が対象

応募に必要な提案書類以外の書類が提出された場合、当該書類は審査の対象としません。

※1 ステップ 2 への応募には治験・臨床研究のプロトコルの提出が必須です。プロトコル骨子、またはコンセプトが作成されている課題は、ステップ 1 のプロトコル作成の公募テーマへ応募してください。

※2 研究開発提案から薬事承認までの全体のスケジュールが分かる工程表（ロードマップ）を作成し、添付してください。工程表には、臨床研究、第Ⅰ相試験、第Ⅱ相試験等、それぞれの段階について、いつまでに開始し完了するのか、研究開発開始からの具体的な年次計画を示し、提案する研究開発課題がその中でどの位置づけになるか、チェックリスト*を参照しながら作成してください。

*https://www.amed.go.jp/content/000071107.pdf

※3 PMDA が実施する「レギュラトリーサイエンス戦略相談」等の対面助言記録及び別紙（相談内容）を添付してください。←【ステップ2】②、③、④、⑤、⑥、⑦で治験を実施する課題については、研究開発提案時までに対面助言を受けていることが必須です（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。事前相談は論点の整理や資料の充足性のみを行い、内容の議論は行わないため、事前面談の実施の有無が個別開発品目の開発可能性の評価に値するものではないためです。）。

詳細および※の説明は公募要領で必ずご確認ください。

ヒト全ゲノムシークエ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.20～21

- 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。

ヒト全ゲノムシークエ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.21、25

■ 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「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の提出について
ヒト全ゲノムシークエンス解析（第3章「3.5 データシェアリング」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ー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クエンス解析の実施の有無については、十分注意してご判断ください。

また、所定様式が提出されている場合であっても、第3章「3.5 データシェアリング」の条件を満たさない研究開発課題は、「不採択」となります。

※ ヒト全ゲノムシークエンス解析プロトコール様式

研究開発費の記載について

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

30,000千円+（ 30,000千円 * 0.2 ）+10,000千円+（10,000千円 * 0.3）= 研究開発費総額 49,000千円

jRCTへの登録について

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。

重複応募について

公募要領　P.4、38

- 複数の公募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Ⅱ-第2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AMEDの本事業担当課に報告してください。
- 当該公募年度に研究開発代表者として本事業に参画を予定している場合は、研究開発代表者として本公募に応募できません。ただし、研究開発分担者の立場であれば複数の課題に参加可能です。その場合は、研究費の不合理な重複及び過度の集中（詳細はⅡ-第2章を参照してください。）に該当しないようにエフォートを適切に配分してください。

★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。

医療研究開発における患者･市民参画（PPI）の推進

公募要領　P.17

MEDは、患者さん一人一人に寄り添い、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、患者さんやご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。

（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



説明事項

1. 臨床研究・治験推進研究事業について
2. 令和９年度の公募対象課題について
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

5. 選考・審査方法について

公募要領　P.5～6

- ✓採択に当たっては、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９年１月28日(木)、29日(金)）**を行います。
- ✓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。

※ 審査の過程で追加資料を求める場合があります。

※ 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。

5. 選考・審査方法について

書面審査およびヒアリング審査

公募要領　P.30 ～32

■審査項目と観点

審査項目	評価の観点
（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 ・「社会共創」の視点を重視する等、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	・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

お問合せ先

日本医療研究開発機構（AMED）
創薬事業部　レギュラトリーサイエンス課
「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/**