



# 遺伝子治療に関するAMEDのグラント ー臨床試験の要件についてー

---

第2回 遺伝子治療臨床試験トレーニングコース 平成28年7月27日

戦略推進部  
研究企画課

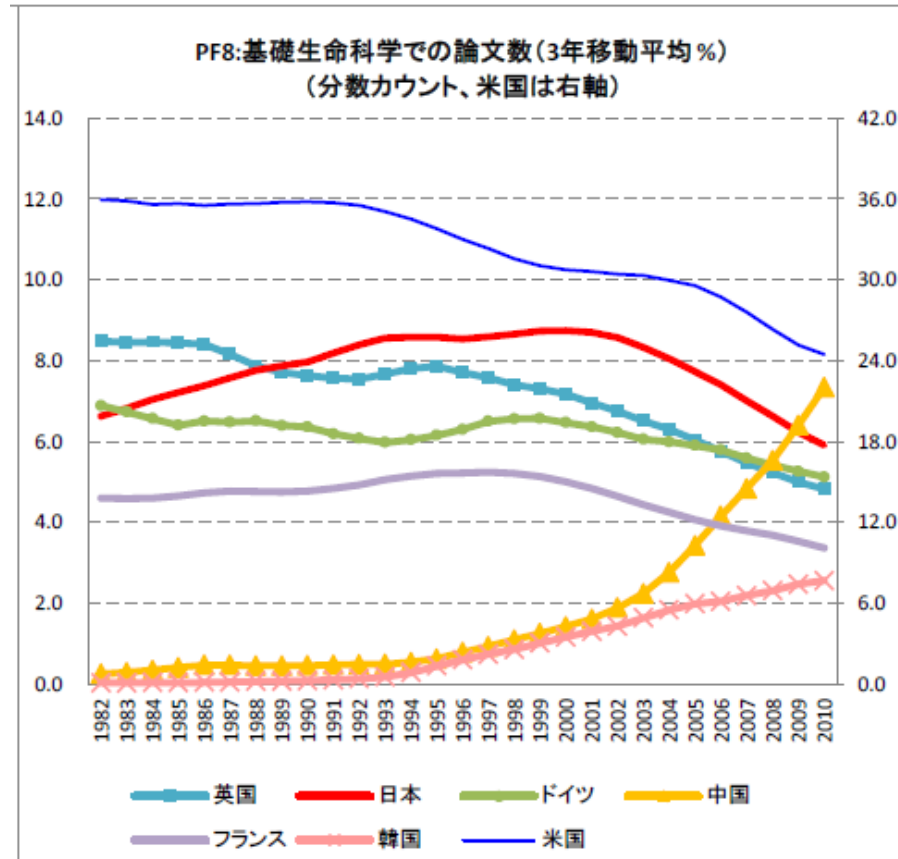
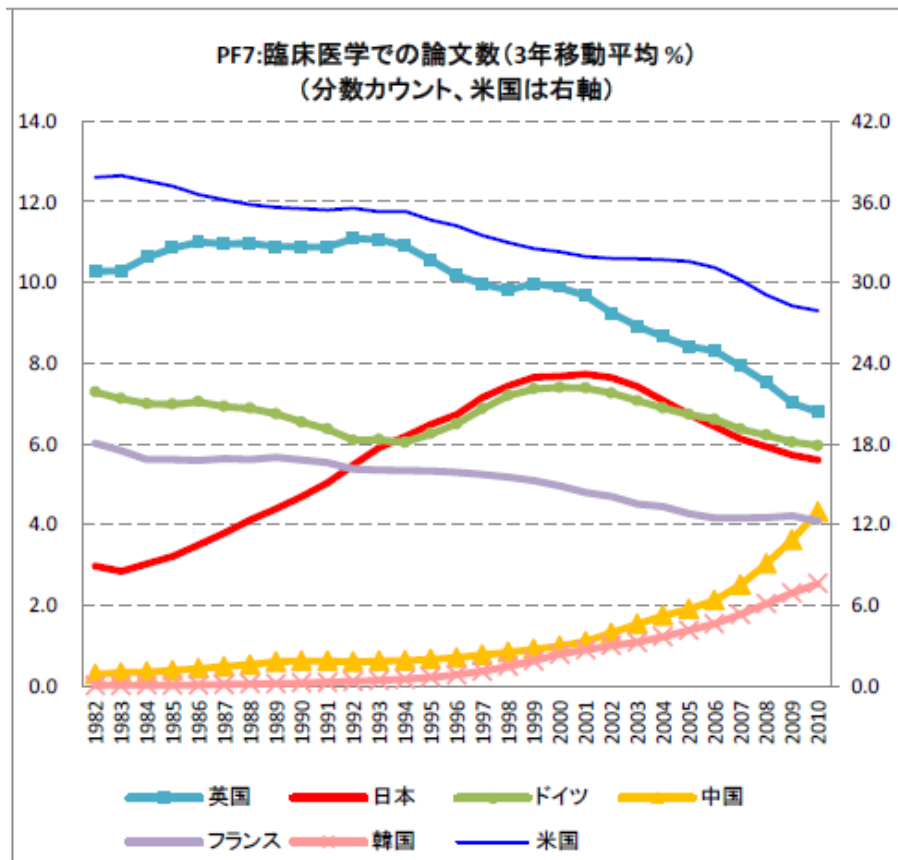
鶴見 晴子

国立研究開発法人日本医療研究開発機構(AMED)

1. AMEDの設立と研究推進体制
2. 遺伝子治療に関わるAMEDのグラントとその要件について
3. 医師主導治験を対象としたAMED研究開発費申請前に考慮いただきたいこと

# 論文に関する国際比較 臨床医学

# 論文に関する国際比較 基礎生命科学



文部科学省科学技術・学術政策研究所「科学研究のベンチマーキング2012:論文分析でみる世界の研究活動の変化と日本の状況」より

## 製薬産業の現状

世界市場規模	日本市場規模	主な日本企業
9530億ドル(2011)	9兆3千億円(2011)	武田薬品工業(12位) アステラス製薬(17位) 第一三共(19位) 大塚ホールディングス(20位)

厚生労働省医薬品産業ビジョン2013資料編より作成

[http://www.mhlw.go.jp/seisakunitsuite/bunya/kenkou\\_iryuu/iryuu/shinkou/dl/vision\\_2013b.pdf](http://www.mhlw.go.jp/seisakunitsuite/bunya/kenkou_iryuu/iryuu/shinkou/dl/vision_2013b.pdf)

## 医療機器産業の現状

世界市場規模	日本市場規模	主な日本企業
3千億ドル(2012)	2兆4千億円(2011)	オリンパス(16位) テルモ(21位) 東芝メディカル(23位) 日立メディコ(41位)

経済産業省における医療機器産業政策より作成

[http://www.jasis.jp/2013/pdf/result/130905\\_04\\_kakudo.pdf](http://www.jasis.jp/2013/pdf/result/130905_04_kakudo.pdf)

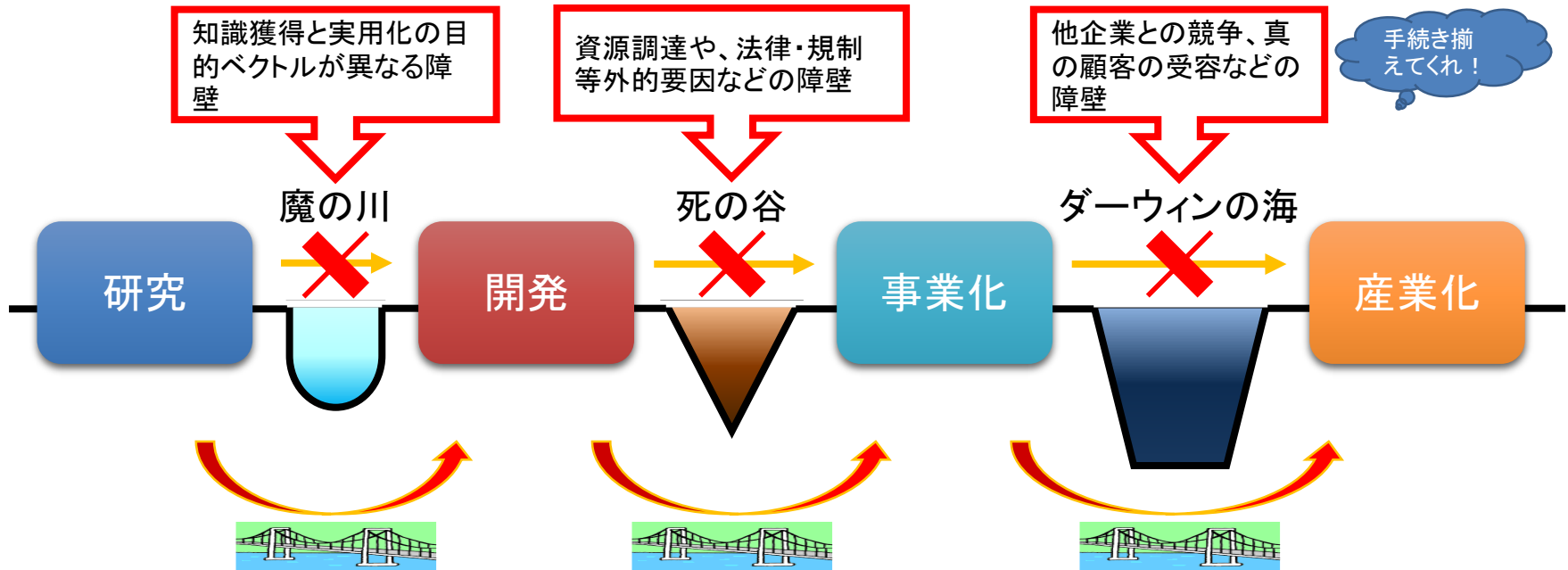
Copyright 2015 Japan Agency for Medical Research and Development. All Rights Reserved.

# 医療分野研究開発推進計画で指摘された課題

「医療分野研究開発推進計画」(平成26年7月22日)等より

AMED

- **基礎研究**: 研究成果の展開に関するマネジメントが不十分
- **臨床研究**: データ管理、知財、倫理等の研究支援体制と研究費が不十分
- **企業**: 規模が小さい、ベンチャー企業が不足
- **国**: 縦割りの研究支援(文部科学省、厚生労働省、経済産業省 等)



次のフェーズへ迅速な“橋渡し”が課題

# 日本医療研究開発機構（AMED）とは



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

## ◆平成27年4月1日設立

### <背景>

- 日本再興戦略(平成25年6月)
- 健康医療推進戦略法(平成26年5月)
  - 健康・医療推進戦略推進本部
  - 健康・医療推進戦略、医療分野研究開発推進計画(平成26年7月)



AMED理事長 末松誠

## ◆医療分野の研究開発及びその環境整備の実施・助成について中核的な役割を担う機関

# 法人に求められる主な業務



## 医療に関する研究開発の実施

- プログラムディレクター-(PD)、プログラムディレクター-(PD)、プログラムオフィサー-(PO)等を活用した  
マネジメント機能 ※ PDPSP0の一覧(AMEDホームページ) <http://www.amed.go.jp/program/>
  - ・医療分野研究開発推進計画に沿った研究の実施、研究動向の把握・調査
  - ・優れた基礎研究の成果を臨床研究・産業化につなげる一貫したマネジメント
- 適正な研究実施のための監視・管理機能
  - ・研究不正防止、倫理・法令・指針遵守のための環境整備、監査機能

## 臨床研究等の基盤整備

- 臨床研究中核病院、早期・探索的臨床試験拠点、橋渡し研究支援拠点の強化・体制整備
- EBMに基づいた予防医療・サービス手法を開発するためのパイロット等の整備

## 産業化へ向けた支援

- 知的財産取得に向けた研究機関への支援機能
  - ・知財管理、相談窓口、知財取得戦略の立案支援
- 実用化に向けた企業連携・連携支援機能
  - ・PMDAと連携した有望シーズの出口戦略の策定・助言、企業への情報提供・マッチング

## 国際戦略の推進

- 国際共同研究の支援機能
  - ・国際動向を踏まえた共同研究の推進、医療分野に係る研究開発を行う海外機関との連携

# 新たな医療分野の研究開発体制の全体像



## 健康・医療戦略推進本部

本部長：内閣総理大臣

- 医療分野研究開発推進計画を策定
- 医療分野の研究開発の司令塔として総合的な予算要求配分調整を実施
- 調整費の使途を戦略的・重点的な予算配分を行う観点から決定

医療分野研究開発推進計画等を踏まえて課題を採択

総合的な予算要求配分調整

文科省

厚労省

経産省

補助金等

研究者の自由な発想に基づくボトムアップ型の研究

国が定めた戦略に基づくMission-Orientedな研究

インハウス研究

科学研究費助成事業 (科研費)  
・約 650億円 (H27)

日本医療研究開発機構  
・約1,400億円  
当初予算 1,248億円(H27) + 調整費 175億円

国の研究機関  
・723億円(H27)  
文211, 厚429, 経84

発掘したシーズをシームレスに移行

研究開発に係る基盤整備

臨床研究  
中核病院等

個別の研究費の  
ファンディング

委託契約等

各研究機関への  
財源措置

※ 大学、研究所等及び研究者

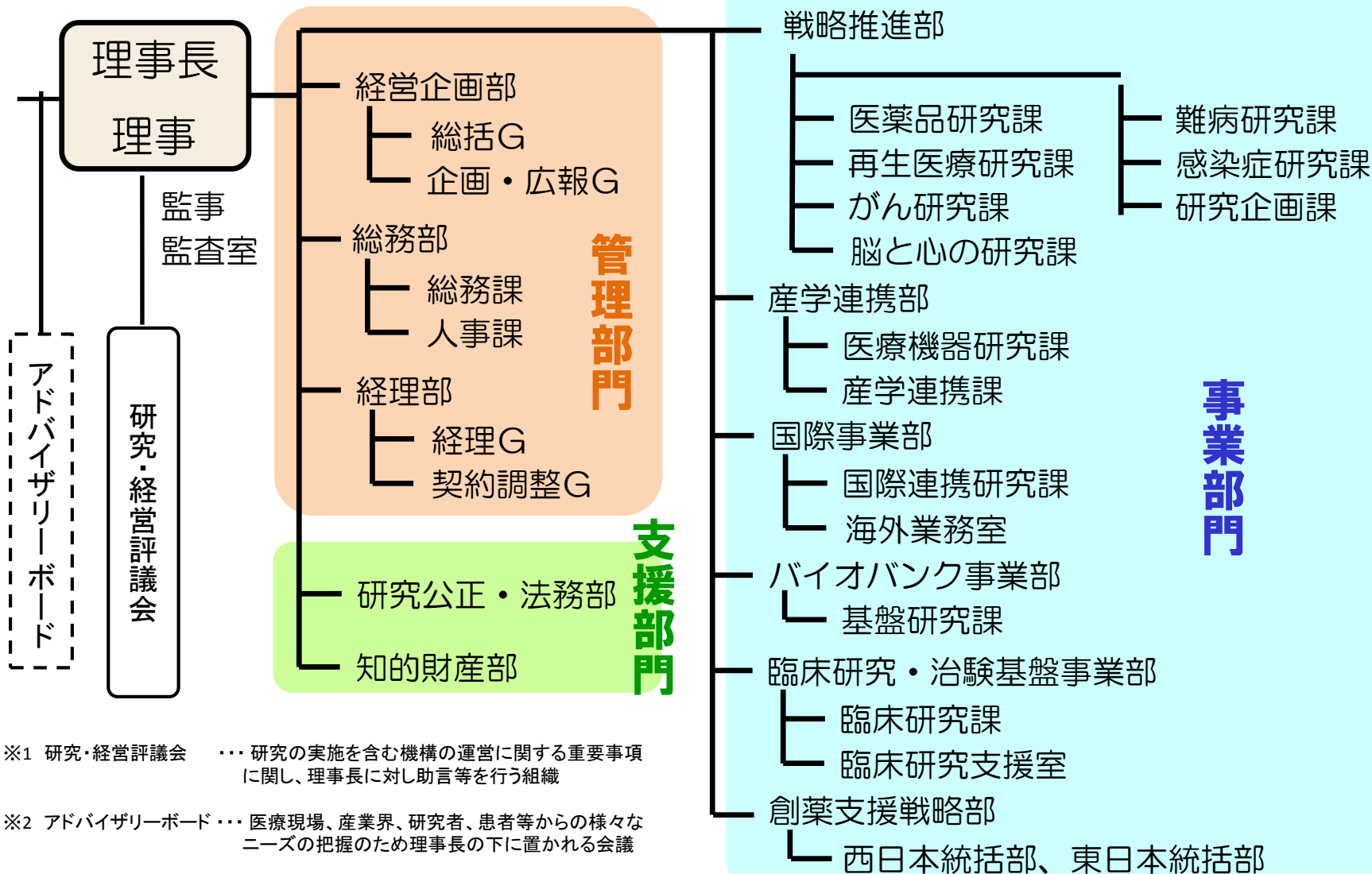
国立高度専門医療研究センター (NC)・理化学研究所・産業技術総合研究所・国立感染症研究所等

研究を臨床につなげるため、国際水準の質の高い臨床研究・治験の確実な実施

医療分野研究開発推進計画を踏まえた研究の実施



# 組織図



※1 研究・経営評議会 …… 研究の実施を含む機構の運営に関する重要事項に関し、理事長に対し助言等を行う組織

※2 アドバイザーボード …… 医療現場、産業界、研究者、患者等からの様々なニーズの把握のため理事長の下に置かれる会議

職員数：事業部門 282人

管理部門・支援部門 45人 (H28.1.1時点)

1. AMEDの設立と研究推進体制
2. 遺伝子治療に関わるAMEDのグラントとその要件について
3. 医師主導治験を対象としたAMED研究開発費申請前に考慮いただきたいこと

# 遺伝子治療研究に関連のある事業(一部) (注) 公募時の公募要領をご確認ください。



## 戦略推進部 医薬品研究課

- ・革新的バイオ医薬品創出基盤技術開発事業
- ・革新的先端研究開発支援事業

## 戦略推進部 再生医療研究課

- ・再生医療実現拠点ネットワークプログラム
- ・再生医療実用化研究事業
- ・再生医療の産業化に向けた評価基盤整備事業

## 戦略推進部 がん研究課

- ・次世代がん医療創生研究事業
- ・革新的がん医療実用化研究事業

## 戦略推進部 脳とこころの研究課

- ・脳科学研究戦略プログラム・革新的技術による脳機能ネットワークの全容解明プロジェクト

## 戦略推進部 難病研究課

- ・難治性疾患実用化研究事業

## 戦略推進部 感染症研究課

- ・肝炎等克服実用化対策研究事業
- ・エイズ対策実用化研究事業

## 戦略推進部 研究企画課

- ・革新的先端研究開発支援事業
- ・成育疾患克服等総合研究事業
- ・女性の健康の包括的支援実用化研究事業

## 産学連携部 産学連携課

- ・医療分野研究成果展開事業

## 臨床研究・治験基盤事業部 臨床研究課及び規制科学・臨床研究支援室

- ・橋渡し研究加速ネットワークプログラム
- ・早期探索的・国際水準臨床研究事業
- ・臨床研究・治験推進研究事業
- ・医薬品等規制調和・調査研究事業

# 遺伝子治療に関わるグラントを含む主な事業



革新的先端研究開発支援事業

革新的バイオ医薬品創出基盤技術開発事業

革新的がん医療実用化研究事業

難治性疾患実用化研究事業

再生医療実現拠点ネットワークプログラム

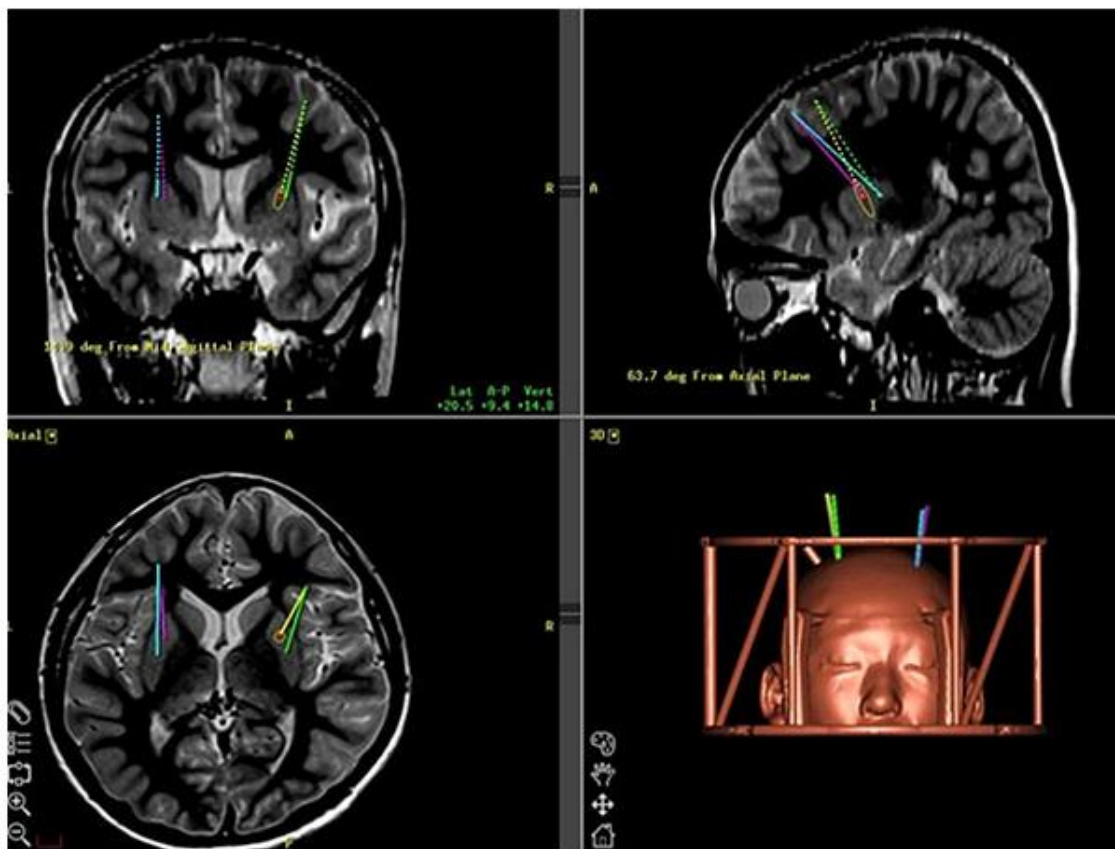
再生医療実用化研究事業

## 基礎研究から臨床応用への研究推進のために…

- ◆ 医療に関する研究開発のマネジメント
- ◆ 研究開発の基盤整備に対する支援
- ◆ 臨床研究及び治験データマネジメント
- ◆ 産学連携の推進による産業化支援
- ◆ 国際戦略の推進

医薬品等規制調和・評価研究事業

# 成育疾患克服等総合研究事業 (2015年11月10日プレスリリース) —成果例—



定位脳手術のイメージング画像

両側被殻（各2か所、計4か所）へ定位脳手術により、AAV-hAADC-2ベクターを注入しました。

日本人患者2例（15歳男子と12歳女子の兄妹）に対して、定位脳手術により両側線条体（被殻）へAAVベクターにヒトAADC遺伝子を組み込んだAAV-hAADC-2ベクターを注入による遺伝子治療を実施。

治療後、2人とも副作用なく、長期の寝たきり状態から寝返りや歩行練習が可能となる。  
苦痛であった全身のジストニア発作も消失した。

AMED成育疾患克服等総合研究事業  
自治医科大学 小児科学  
山形 崇倫先生

再生医療実現拠点ネットワークプログラム(幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム)研究事業

## ■ 事業趣旨

幹細胞・再生医学分野の発展および次世代の革新的な再生医療の実現に資する、目標達成型の基礎的研究の支援。幹細胞・再生医学を活用し、将来的に再生医療分野または創薬への応用を目指す基礎的研究であれば分野は問わない。

## ■ 研究期間 (平成28年度公募の例)

3年度 (平成28年度～平成30年度)

## ■ 研究費の規模および採択課題予定数 (平成28年度公募の例)

- ① 一般：20,000～30,000千円/年 (間接経費を含む)。
- ② 若手：10,000～20,000千円/年 (間接経費を含む)。

※ 再生医療分野の裾野を広げ、幅広いシーズの発掘、人材育成につながるよう、1法人あたりの採択数は、原則として①一般②若手それぞれ最大1課題まで

## 再生医療実用化研究事業

### ■ 事業趣旨

再生医療実用化研究事業は、再生医療等安全性確保法に従って実施する臨床研究、医薬品医療機器法に従って実施する医師主導治験（企業治験は対象外）の推進等により、我が国において最新の再生医療を世界に先駆けて本格的に実用化することを目指す。疾患領域ならびに細胞種について特定するものではなく、広く再生医療の実用化を目指した課題を対象とする。

### ■ 研究期間（平成28年度公募の例）

3年間（平成28年度～平成30年度）

### ■ 研究費の規模および採択課題予定数（平成28年度公募の例）

- ① 臨床研究：最大50,000千円／年（間接経費を含む）。
- ② 医師主導治験：最大100,000千円／年（間接経費を含む）。



# 規制科学・臨床研究支援室 医薬品等規制調和・評価研究事業

公募期間：平成28年3月15日～4月15日

研究開発費：13,000千円x1課題



## 公募課題名： 遺伝子治療におけるカルタヘナ法の第一種使用規定の考え方に関する研究

### 【背景】

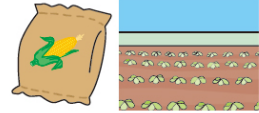
現行の多くの遺伝子治療では遺伝子導入に際し、組み替えウイルスベクターを使用しており、治療においてはカルタヘナ法の第一種使用規定により適切な患者管理が必要。一方、ウイルスベクターごとに体内動態は異なり、投与量・投与部位により体液中のウイルス存在量も異なるが、これに関する適切なレファレンスが存在しないため、管理期間が長期化するなどの問題がある。

ウイルス種ごとに、患者からの排泄プロファイルを収集するとともに、既存排出データを含めて排出シグナルと感染性の相関性について精査し、適切な個室管理の期間や感染伝播防止対策につなげる。また、遺伝子治療に係るカルタヘナ法の運用の在り方に関する海外規制状況も調査し、我が国における、カルタヘナ議定書を初めとする国際条約に基づいた規制の在り方の検討を深める。

### 【求められる成果】

- ・ 遺伝子治療用ウイルスベクターの体外排出プロファイル評価に関するガイダンス
- ・ 遺伝子治療における生物多様性及びバイオセーフティの確保に関する海外規制動向調査結果

### 開放系での使用



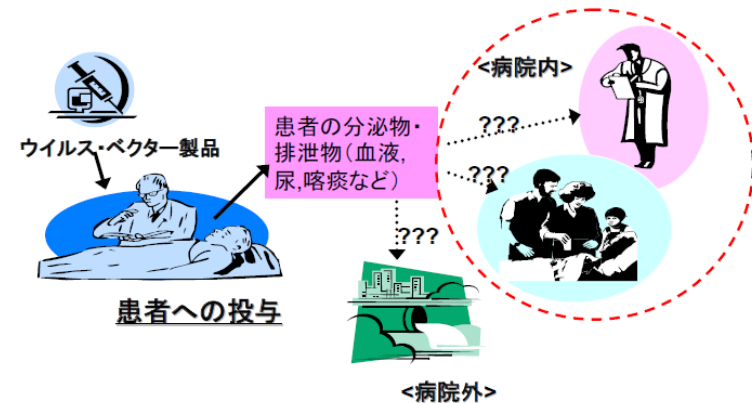
**第一種使用：**食料や飼料としての運搬、農地での栽培など。  
生物多様性への影響が生ずるおそれがないと承認されたものが使用できる。

### 閉鎖系(拡散防止措置の下)での使用



**第二種使用：**実験室・工場内など。  
環境中への拡散を防止するために定められた方法で使用できる。

### 患者からのベクターやウイルスの排出の影響





# 規制科学・臨床研究支援室 医薬品等規制調和・評価研究事業

公募期間：平成28年3月15日～4月15日

研究開発費：30,000千円x1課題



## 公募課題名： ゲノム編集を利用した遺伝子治療用製品の安全性評価に関する研究

### 【背景】

ゲノム編集は、ゲノムの任意の部位を改変することができる技術として近年急速に普及し、医療分野への応用が進められている。しかし、ゲノム編集を行いたい部位以外の位置で意図せずゲノム編集が起こってしまうオフターゲット効果が大きな課題となっている。

本課題では、ゲノム編集のオフターゲット効果を適切に評価する試験法を確立し、ゲノム編集を利用した遺伝子治療用製品の安全性評価指針の根拠となる実験的データの創出、安全性判断基準の土台となるコンセプトの提案など、ゲノム編集を利用した遺伝子治療用製品の開発環境の整備のためのレギュラトリーサイエンス研究を行う。

### 【求められる成果】

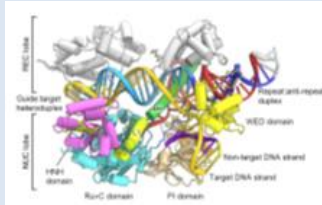
- ・ オフターゲット効果の評価に有効な塩基配列検索技術の開発
- ・ ゲノムシーケンスによるオフターゲット効果の安全性評価法の確立及びガイダンス案の作成

近年、ゲノム編集技術や遺伝子治療手法の開発により、以前よりも革新的な治療が可能となりつつあることから、世界に先駆けて新たな技術と治療法を開発することは、きわめて重要である。このため、平成28年度の春の調整費を活用し、①革新的なゲノム編集技術、②遺伝子治療法の開発、③遺伝子治療実現の基盤整備、について総合的に研究支援を行い、開発の加速・充実を図る。

## 【①革新的なゲノム編集技術の開発・応用】

### ○新たなゲノム編集ツール作製

濡木教授のグループによりH27年度末に新規Cas9酵素の構造解析結果が公表されたことを踏まえ、立体構造に基づいて新たなゲノム編集ツールの作製を加速する。



(我が国独自のゲノム編集ツール特許の確保を目指し、高機能なヌクレアーゼの創出を図る。)

1.5億[革新的バイオ医薬品創出基盤技術開発事業]

### ○新技術を用いた疾患モデルマウスや多系統ノックアウトマウスの作製

高確率で遺伝子を破壊する技術、複数遺伝子を同時に導入する技術などゲノム編集を高度化、高効率化する改良技術の開発、新たな遺伝子導入法の創出が進展している。このため、新技術を用いた疾患モデルマウスや多系統のノックアウトマウスの作製などにより、免疫応答や代謝、恒常性のメカニズムを解析し、医療応用に資する基礎的検討を実施。(マウスはNBRPに寄託予定)

1.8億[革新的先端研究開発支援事業]

## 【②新たな遺伝子治療法等の開発加速・充実】

### ○ゲノム編集技術の活用

ゲノム編集技術を用いた革新的ながん遺伝子治療法の開発  
(ゲノム編集技術を導入し、副作用の少ない遺伝子治療法を開発)

1.5億[革新的がん医療実用化研究事業]

難治性疾患に対する画期的な治療法の実用化研究

(難治性疾患に対する遺伝子治療、核酸医薬等の開発)

1.5億の中で1~2課題(3年程度)[難治性疾患実用化研究事業]

### ○遺伝子導入のためのベクターの開発・活用

ウイルスベクターを用いた実用化間近ながん遺伝子治療法開発

(脳腫瘍、肝細胞がん、悪性胸膜中皮腫の遺伝子治療法の開発を加速する)

1.2億[革新的がん医療実用化研究事業]

難治性疾患に対する画期的な治療法開発のための基盤技術開発研究

(抗原性の低いウイルスベクターの開発、導入効率の高いウイルスベクターの開発、困難とされてきた組織へのデリバリー技術の開発等を実施)

0.2億×2課題(2年程度)[難治性疾患実用化研究事業]

## 【③遺伝子治療開発の基盤整備】

### ○ウイルスベクターを活用した治療法の安全性の向上

遺伝子治療の安全性確保のため、Virus Shedding評価系を確立する。  
(患者から排出されるウイルスの排出プロファイルを予測・定量する評価系を確立する。排出ウイルスによる感染リスクの懸念を大幅に低減させ、遺伝子治療開発を促進する。)

1.15億[医薬品等規制調和・評価研究事業]

### ○ウイルスベクター製造体制の確立

難治性疾患に対する画期的な治療法開発のための体制確立研究

(GMP準拠ベクター製造体制確立)

1.5億×1課題(2年程度)[難治性疾患実用化研究事業]

# 戦略推進部 難病研究課

公募期間：平成28年6月23日（木）～平成28年7月21日（木）

研究開発費：年間上限20,000千円



## 1. 希少難治性疾患の克服に結びつく基盤技術開発研究

### －難治性疾患に対する画期的な治療法開発のための基盤技術開発研究－

研究の背景： 難治性疾患に対する遺伝子治療薬または核酸医薬開発のための基盤技術（抗原性の低減、遺伝子導入効率の向上、標的組織へのデリバリー向上等）を開発する課題を対象に実施する。

治療法が開発が困難な難治性疾患領域においては、近年、技術開発が進んできた遺伝子治療薬や核酸医薬が有望な治療手段と考えられている。これらの治療薬を我が国において開発するための基盤的な技術と知財を確保し、日本発の優れた治療薬の開発の促進を図る。

目標： 遺伝子治療薬または核酸医薬に関する基盤技術の確立を目標とする。

求められる成果： 基盤技術が確立したことを示す資料（研究班が作成した原著論文等）、確立した基盤技術に関する資料（知財に関する資料等）等。

#### 採択条件

(a)【必須条件】実用化を意識した研究開発提案であること（難治性疾患に対する遺伝子治療薬または核酸医薬開発において利用されることを念頭においた基盤技術開発研究であること）。

(b)【必須条件】これまで困難とされてきた課題を解決する、日本発の技術の開発を目指す研究開発提案であること（研究開発提案書に、既存技術の問題点、開発する技術の既存技術に対する優位性等を具体的に記載すること）。

(c)【必須条件】戦略的に知的財産権を確保し、それを適切に管理・活用できる体制が整備されている、またはそれを支援する専門家（弁護士、弁理士等）と契約して実施できること。

# 難病研究課

公募期間：平成28年6月23日（木）～平成28年7月21日（木） 正午



## 2. 希少難治性疾患の克服に結びつく研究基盤確立研究

### －難治性疾患に対する画期的な治療法開発のための研究基盤確立研究（治験用ベクター製造）－

目標 自施設のみならず、他施設で実施される治験で使用する遺伝子治療用ベクターの製造を受託・供給できる体制を確立すること、委託研究開発期間終了後は、製造受託利益または自己負担等により体制が維持・運営されること。

本公募は、治験用ベクター製造設備の整備を行い、難治性疾患実用化研究事業の研究開発課題等からの委託を受け、製造・供給できる体制を確立する課題を対象に実施する。

従来治療が困難であった難治性疾患の有望な治療法のひとつとして、遺伝子治療があげられるが、我が国の遺伝子治療の医師主導治験の実施件数は欧米等に比べて少なく、その原因のひとつとして治験用ベクターの製造設備が少ないことがあげられる。

そこで本公募は、製造設備の整備を行い、自施設のみならず、他施設で実施される治験で使用する遺伝子治療用ベクターの製造を受託・供給できる体制を確立する研究課題を公募する。

#### 求められる成果

自施設のみならず、他施設で実施される治験で使用する遺伝子治療用ベクターの製造を受託・供給できる体制の確立、および治験用ベクター製造施設の体制整備に係る詳細資料（施設の仕様書、検討会議議事録、各種手順書等）。

#### 採択条件

(a)【必須条件】実現可能性、有識者・製造経験者、周辺環境への配慮、運営体制の整備、AMED研究者との連携、など。

# 難病研究課

公募期間：平成28年6月23日（木）～平成28年7月21日（木） 正午



## 3. 希少難治性疾患の克服に結びつく治療法の実用化研究 －難治性疾患に対する画期的な治療法の実用化研究－

**目標** 難治性疾患に対して高い治療効果が期待される遺伝子治療薬または核酸医薬の実用化に向けて、医師主導治験、または医師主導治験実施のための準備を行う。医師主導治験の準備が整った状態から研究を開始する場合は、原則として研究開始から5年以内に薬事承認を得ることを目標とする。

医師主導治験実施のための準備から研究を開始する場合は、原則として研究開始から3年以内に医師主導治験へ進める状況となっていることを目標とする。

### 求められる成果

医師主導治験の準備が整った状態から研究を開始する場合は、医師主導治験総括報告書、治験薬の確保・提供を証明・保証する書類、及び製造工程記録一式、治験薬概要書最終版、開発候補物に係る新規特許出願をした場合にはそれを示す書類

医師主導治験実施のための準備から研究を開始する場合は、非臨床試験総括報告書、治験薬の確保・提供を証明・保証する書類、及び製造工程記録一式、治験薬概要書

### 採択条件

**【必須条件】**実現可能性、製剤入手方法および薬事承認状況が明記されていること、知財確保、PMDA薬事戦略相談、導出企業、研究成果の普及体制、など。



# 戦略推進部 がん研究課

公募期間：平成28年6月17日～平成28年7月19日

研究開発費：年間10,000千円～20,000千円程度 最長2年度

採択予定数：0～10課題程度



## 1. がん医療へのゲノム編集技術導入へ向けた安全性の高いベクター等の開発

### 公募する研究内容

がん医療におけるゲノム編集技術を用いた革新的遺伝子治療法開発を目標とし、がん細胞に選択的にゲノム編集を導入したり、ゲノム編集効率を高めつつもオフターゲット効果を抑制したりできる安全性の高いベクター開発等に係る研究を募集します。

求められる成果 期間内に、がん治療のための安全性の高い新たなベクターやゲノム編集技術等を開発し、その後の非臨床試験への導出の可能性を示す事

### 特記事項(優先される事柄等)

○ 本研究分野は「ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト」として文部科学省の「次世代がん研究シーズ戦略的育成プログラム」及び経済産業省の「未来医療を実現する医療機器・システム研究開発事業」(その他、がんに関する先進的な医療機器・システムの開発を目的とした経済産業省の過去の事業も含む。)と一体的に推進することとしているため、同研究事業において一定の成果が認められた研究開発課題を優先的に採択します。

○ 開発するベクターの知財戦略について、別添資料(様式自由)での説明が求められます。当該技術の国内外の状況とともに新規性・進歩性について説明してください。また、知財戦略が困難な場合においては、その解決策(特定の創造物の知財化、クロスライセンス等)についての説明をしてください。

等

# 戦略推進部 がん研究課

公募期間：平成28年6月17日～平成28年7月19日

研究開発費：年間上限100,000千円 最長3年度

採択予定数：0～2課題程度



## 2. ゲノム編集技術を用いた、がん医療のための革新的遺伝子治療法開発に資する非臨床試験

### 公募する研究内容

ゲノム編集技術を用いた、がん医療のための革新的遺伝子治療法開発に係る非臨床試験を募集します。

求められる成果 がん医療への当該技術の導入に向け、非臨床試験を実施し、実用化に向けた臨床試験への移行に係る非臨床POC取得等の成果

### 特記事項(優先される事柄等)

- 基礎研究の成果を確実に実用化に向けた臨床試験へ移行させる事を重視し、GLPに準じた非臨床試験を実施する研究を優先します。
- 基礎的な研究や探索型臨床研究は対象としないことにご留意ください。
- 企業との連携がある、もしくは予定している研究開発課題を優先します。
- 本研究分野は「ジャパン・キャンサーリサーチ・プロジェクト」として文部科学省の「次世代がん研究シーズ戦略的育成プログラム」及び経済産業省の「未来医療を実現する医療機器・システム研究開発事業」(その他、がんに関する先進的な医療機器・システムの開発を目的とした経済産業省の過去の事業も含む。)と一体的に推進することとしているため、同研究事業において一定の成果が認められた研究開発課題を優先的に採択します。等

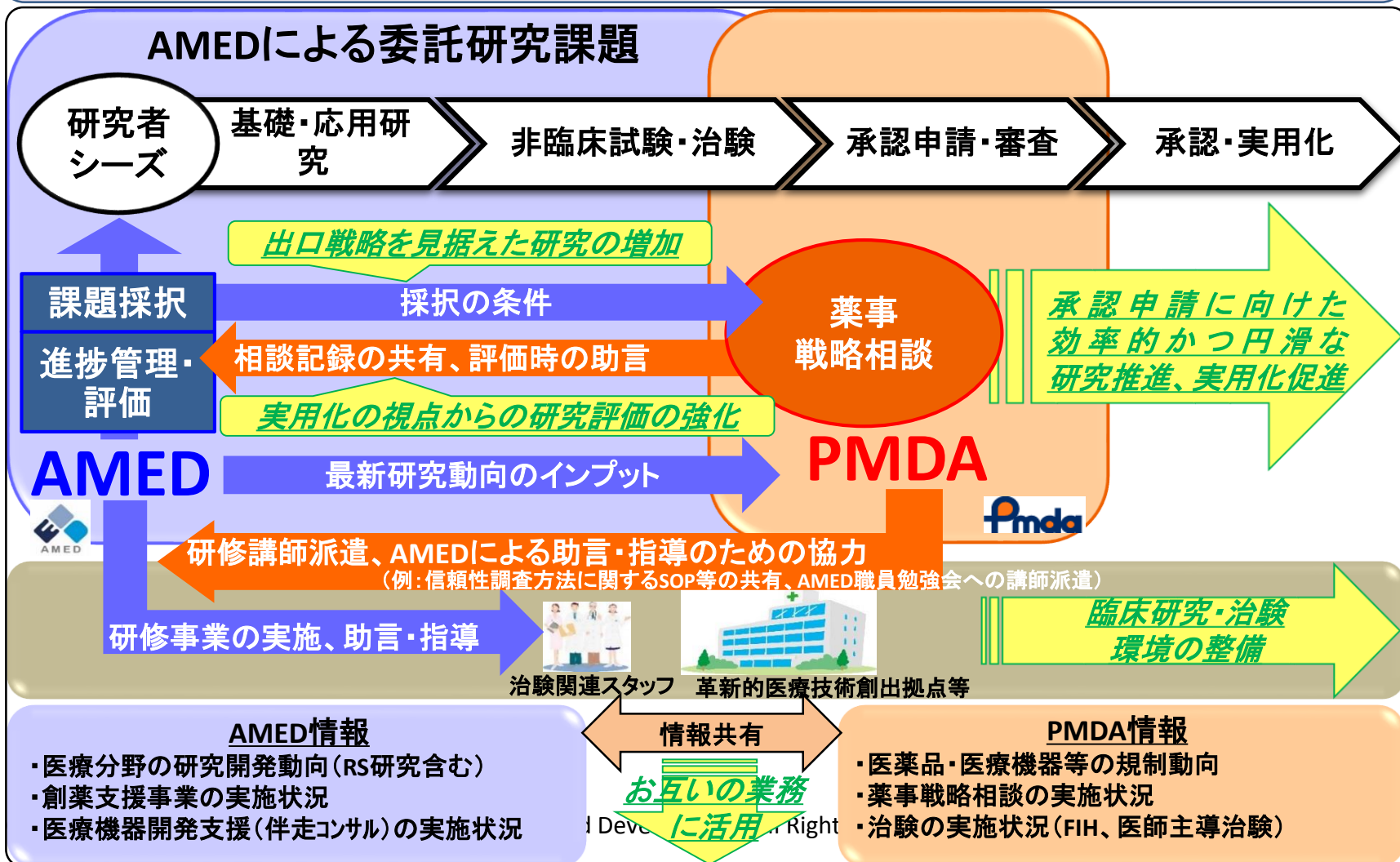
1. AMEDの設立と研究推進体制
2. 遺伝子治療に関わるAMEDのグラントとその要件について
3. 医師主導治験を対象としたAMED研究開発費申請前に考慮いただきたいこと



## AMED-PMDAの連携強化について

革新的な医薬品・医療機器・再生医療等製品の創出を効率的に進めるためには、規制方針を踏まえた研究開発戦略の構築、最新の研究開発の動向を踏まえた合理的な規制の実現が必要である。

このため、本邦発の革新的医薬品・医療機器等の創出に向けて、AMEDによる医療分野の研究開発の推進業務等、PMDAによる審査・相談業務等についてそれぞれの使命や責務を果たしつつ、それぞれが持つ知識や経験を相互に活用する。



# 知財マネジメント支援

## 1. アカデミアに対する知的財産コンサルティング

### Medical IP Desk (知財マネジメント支援 総合相談窓口)

医療分野の知的財産の保護や活用等に関する相談に、医療分野の知財コンサルタント（知的財産部配属の8名）が、研究成果の実用化を見据えながら、具体的な解決策をアドバイス。電話又はメールにて予約。内容に応じて面談も行います。

電話：03-6870-2237

メール：[medicalip@amed.go.jp](mailto:medicalip@amed.go.jp)

場所：日本医療研究開発機構 知的財産部内

(東京都千代田区大手町1-7-1 読売新聞ビル23F)

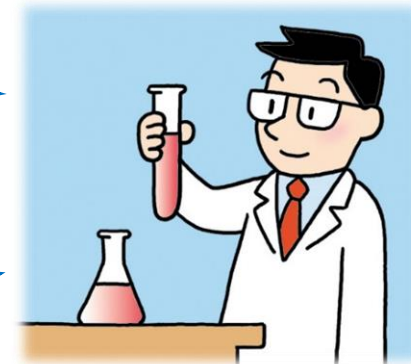


#### 相談例 1

細胞増殖を抑制する物質 A を発見した。実用化に向けライセンスアウトを目指すには、今後どのような実験データを取得したうえで特許出願するのがよいか。

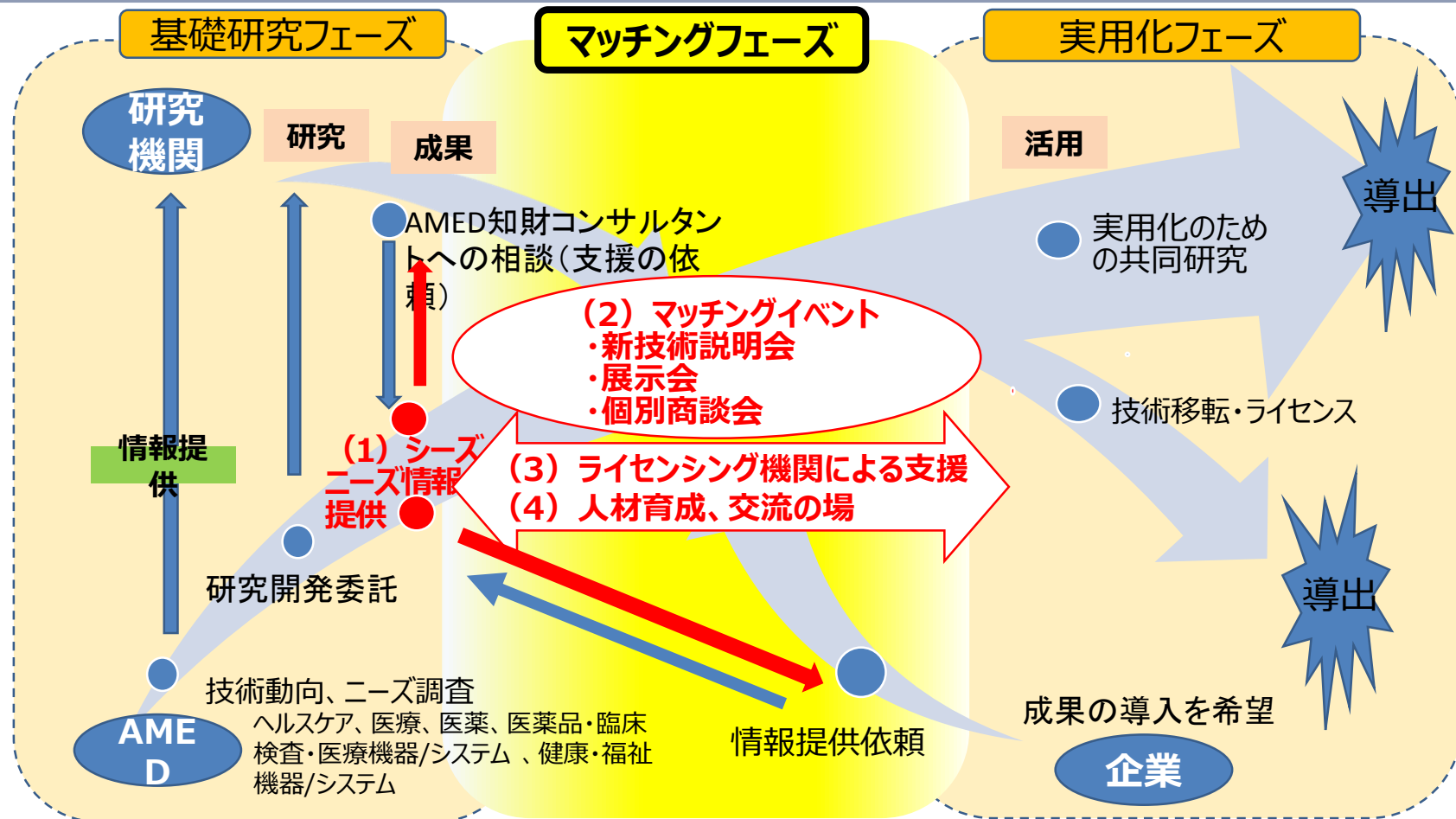
#### 相談例 2

標的臓器に核酸医薬を選択的にデリバリーする技術を開発した。特許の書類をどのような内容にすれば、様々な疾患用の核酸医薬をカバーする強い権利を取得できるか。



# 知財マネジメント支援

## 2. AMED研究成果の活用促進支援施策



# その他、医師主導治験を対象としたAMED研究開発費申請前に考慮いただきたいこと

---



- 治験実施計画概要(生物統計家等による必要症例数設定根拠、安全性・有効性・proof of concept (POC)・マイルストーン設定の記載を含む)の作成
- 「遺伝子治療等臨床研究に関する指針(平成27年8月12日)」の十分な理解
- カルタヘナ法への対応

# 公募情報の入手方法 AMEDメール配信サービス(メルマガ)のご紹介



公募開始や採択情報、イベントのお知らせ  
成果の発信等、AMEDからの情報を、希望  
する方にタイムリーにメールで配信する  
サービスが始まりました。(平成28年7月  
～)



AMED Web サイトのトップページのバナー  
をクリックしてください!

メルマガには次の4種類があります。  
(2つ以上選択することも可能です)

- ① **公募・採択情報** (公募・採択のお知らせのみ・随時配信)
- ② **調達情報** (調達のお知らせのみ・随時配信)
- ③ **その他AMEDの活動、成果、イベント、事務的な情報**  
(a 活動・成果、b イベント情報、c 契約情報等で分け、欲しい情報だけをお届け・毎週水曜日配信)
- ④ **総合メルマガ** (月1回、配信した全ての情報を目次とURLのみまとめて再掲、全員に配信)