

再生医療実現拠点ネットワークプログラム
 (平成 29 年度 疾患特異的 iPS 細胞の利活用促進・難病研究加速プログラム)

公募要領 FAQ

| 質問 | 回答 |
|--|---|
| 機関単位での応募とのことですが、1 機関から複数課題応募することは可能か。 | 可能です。 |
| 代表研究者がプロジェクト期間中に所属機関の定年を迎える場合は、応募資格があるか。 | 研究代表者が研究期間中に定年を迎える場合、その事だけで応募資格がないとはなりません。 |
| 提案書の字数は、決められた範囲内で記載するのか。 | 限られた範囲内で記載して下さい。 |
| 分担機関が複数ある場合に、研究開発提案書は分担機関ごとに提出するのか、あるいは代表機関のみ提出するのか。 | 研究開発提案書には、代表機関と分担機関の研究内容をまとめて記載し代表機関から提案して下さい。 |
| AMED には、委託、再委託という項目があるが、どのように区別したらよいか。 | 本事業では、原則、再委託を認めていないので、分担機関として AMED と直接、個別に契約します。 |
| 外注する場合にも分担機関とする必要があるのか。 | 外注は、外注費で支出して構いません。 |
| 分担機関は、拠点機能を分担する、特殊技能を活用することで分担する、の 2 種類があると考えますが、どちらも分担機関として応募可能か。 | 「拠点機能を分担する」において、どの機能を分担するかが重要ですが、代表機関は責任を持って、実施内容の全てを統括することができ、分担機関は十分に大きな役割を担うことが説明できれば、応募可能です。「十分に大きな役割」には、特殊技能を活用することによる分担も含まれ得ます。 |
| 拠点 I あるいは II において、複数の異なる拠点到、分担研究機関として応募することは可能か。 | 対象疾患などの研究内容が異なれば複数の研究拠点の分担機関になることは可能です。 |
| 拠点 I の研究代表者が、iPS 細胞樹立課題や、拠点 I あるいは II に分担機関として入るのは、内容の重複がなければ問題ないか。 | 申請は可能です。なお、申請者等のエフォートについては、審査項目「実施体制」の評価の観点となります。 |
| 海外との機関との連携について、あるいは海外連携機関へ研究費を配分できるか。 | 国内に研究施設がある場合は、分担機関として研究費の配分は可能です。海外の機関に直接配分することは認めていません。 |
| 研究開発参加者リストには、どこまで載せるのか。臨床医の若手研究者が参加する場合、その上司も入るのか。これらの臨床医は分担機関ではないが、どのように整理す | 若手研究者の上司も当該課題の研究に関わる場合は、参加者リストに記載して下さい。分担機関でない研究者の場合、研究費を配分する際は、当該研究者が所属する機関を |

| | |
|---|---|
| <p>るのか。</p> | <p>分担機関として下さい。研究費を配分しない場合は、研究協力者として代表機関または分担機関の参加者リストに記載して下さい。</p> |
| <p>臨床医が遠方において細胞を機関に送ってくる場合は、研究費を配らない。一方、樹立して分化誘導する技術がある臨床医がいてそこで研究する場合には、研究費を配るなど、いくつかのパターンがあると思うが、どうか。</p> | <p>研究費を配分する場合には、分担機関になる必要があります。研究において重要な役割の研究者は、分担機関として下さい。研究費ではない交通費等の支給については、原則、参加者リストに載った研究者であれば、支給が可能となります。</p> |
| <p>疾患によっては孤発性と家族性とがあり、家族性にも原因遺伝子型が異なるものがあり、また遺伝子型が異なることによって病態が大きく異なることが知られた疾患がある。そのような疾患の場合に、現行事業で取り扱っていた遺伝型とは別に、新たな遺伝子型をやる場合には、本事業の対象として考えて良いか。今までとは異なる遺伝子型について疾患研究をしてスクリーニング系を確立するような場合に、新たにやるのであれば良いか。</p> | <p>病態が異なり、解析方法やスクリーニング系確立方法も異なれば、今回の事業の研究対象疾患になり得ます。</p> |
| <p>1例として、先天性ミオパチー（指定難病では1疾患）では、遺伝子の変異型で細かく分かれる。これは、先天性ミオパチーで1つの疾患とするのか、型の違いでそれぞれ1つの疾患とするのか。</p> | <p>同じ遺伝子変異でも、病態が異なる、病名が同じでも遺伝子変異が違うなど、疾患研究や創薬のアプローチの仕方が異なれば、それぞれ別疾患としてカウントします。</p> |
| <p>研究対象疾患、臓器群の例の中で、例えば、精神・神経疾患の場合、これは精神疾患と神経疾患とがまとめられており、また、血液疾患と免疫系疾患とが分かれているこれはどのような意図か。</p> | <p>精神・神経疾患や血液・免疫系疾患とまとめて提案しても良いですし、精神疾患、神経疾患または血液疾患、免疫系疾患を個別に提案しても良いという意図です。</p> |
| <p>疾患群として提案し、その中の一例として創薬可能な疾患を提案すると思うが、それ以外で iPS 細胞を樹立・寄託することも重要と思う。何処まで括って良いのか。</p> | <p>群ではなく、病態解明と創薬の進展が見込める研究が実施できる疾患を研究対象として下さい。</p> |
| <p>研究対象疾患選定の観点の一つとして、適切な動物モデルが存在しない疾患、とあるが、動物モデルが無い疾患しか研究対象疾患とならないのか。</p> | <p>動物モデルがある疾患でも疾患特異的 iPS 細胞を使用することの優位性があれば、対象となります。</p> |

| | |
|--|--|
| <p>遺伝子多型が知られる疾患を対象とするときに、ある特定の遺伝子型についてはスクリーニングを実施しているが、その他の遺伝子型についてはまだスクリーニング系の確立ができていない場合には、その他の遺伝子型は、応募の対象疾患となるか。</p> | <p>病態が異なり、解析方法やスクリーニング系の確立方法も異なれば研究対象疾患となり得ます。</p> |
| <p>拠点 I あるいは II の場合、研究拠点で、疾患数の規模を求めるのか、特定の疾患に集中して研究を行うことを求めているのか。1 拠点で取り扱う疾患に関して、多い方が良いのか、それとも対象疾患を厳選した方が事業目的に合致しているのか。</p> | <p>研究対象疾患数が評価の対象ではありません。病態解明と創薬の進展が見込める研究を実施できる対象疾患を選定して下さい。</p> |
| <p>創薬スクリーニングが進んでいると本事業の対象外となるが、進んでいる場合の基準を示して欲しい。</p> | <p>スクリーニング系が既に確立しており、その後のスクリーニングを実施する場合は、本事業の対象外です。スクリーニング系のバリデーションのためにスクリーニングを行い、スクリーニング系を確立するところまでは、本事業の支援対象となります。ただし、難病等であり、企業の「連携・支援」が有り、「参画」が無い場合研究計画で妥当性が認められた範囲に限り、アカデミアが主体となって、化合物ライブラリーを用いてスクリーニングを実施することを認めます。妥当性が認められた場合、本事業の実施期間内における研究拠点の AMED 研究開発費のうち、化合物ライブラリーを用いたスクリーニング費用は本事業費の 10% 程度以下とし、化合物の構造展開に要する費用は認められません。</p> |
| | |
| <p>企業が連携・支援、参画している方が望ましい、との記載があるが、提案書に企業名を記載した方が良いか。</p> | <p>企業名の記載は必須ではありませんが、具体的に企業名の記載があると、関係性が具体的になるので、可能な範囲で記載下さい。</p> |
| <p>企業としては、1. 研究拠点 I、II 採択後に公開される対象疾患の情報を確認し、参画の可否を検討する、2. 拠点によるスクリーニング系確立後に新たに参画する、といったケースも想定される。このような場合に、拠点・企業間をマッチングする仕組みは設けられるのか。</p> | <p>原則、疾患名は公開しません。採択後の AMED 主催企業向け研究内容説明会（仮）の開催を検討中（公募要領 p37 に記載）です。</p> |

| | |
|---|---|
| <p>企業と拠点の連携について、公募要領 P. 39 上段の記載に関連して、「疾患特異的 iPS 細胞を活用した難病研究」にて創薬スクリーニングにまで進んだ疾患は、本事業では対象外と考えてよいか。</p> | <p>その通りです。</p> |
| <p>既に製薬会社と、ある疾患についてスクリーニング系を確立することのための共同研究を行っているが、本事業での研究成果の扱いはどうなるか。</p> | <p>本事業の成果としての知財の権利関係については、いわゆる日本版バイドール条項を適用しますので、原則、AMED は知的財産の権利を請求しません。</p> |
| <p></p> | <p></p> |
| <p>in vitro の多分化能について、寄託時の品質確認は拠点ごとの方法でよいか。</p> | <p>多分化能を確認する具体的な方法については、採択後に連絡いたします。</p> |
| <p>拠点 I あるいは II に関連して、指定難病以外の疾患の場合、申請時に臨床調査個人票に準じた疾患の付随情報に関する具体的なフォーマットを申請書に添付するのか。</p> | <p>臨床調査個人票がない疾患は、寄託された細胞が有効に利活用されるために、どのような情報を載せるのが良いかという案を公募申請時に提案して頂きます。提案後、情報項目を AMED、PS、P0 等で決定します。</p> |
| <p></p> | <p></p> |
| <p>拠点 I、II と iPS 細胞樹立課題について、それぞれコントロール細胞を作製が求められている。また、樹立課題で日本特有の疾患の iPS 細胞も樹立するが、この細胞のコントロール細胞の考え方はどうなっているか。</p> | <p>拠点 I、II におけるコントロール細胞は、患者血縁者、変異遺伝子を正常に修復した細胞等になります。また、iPS 細胞樹立課題におけるコントロール細胞は、健常人由来で、疾患研究におけるコントロール群や薬効・毒性評価に向けた研究のため、健常人 iPS 細胞を集中的に作製することとしており、扱いが異なります。日本特有の疾患の iPS 細胞の樹立についても、コントロール細胞を作製した場合は寄託を求めたいと考えています。</p> |
| <p>iPS 細胞樹立課題において、「疾患特異的 iPS 細胞を活用した難病研究」で作製された健常人 iPS 細胞を、本事業においてエクソーム解析による多型情報や、目的細胞毎に分化効率のよい株選定のための特定の系統への分化効率の情報を得るために利用してもよいか。</p> | <p>「疾患特異的 iPS 細胞を活用した難病研究」で樹立した健常人 iPS 細胞のこれら情報を調べることは可能です。</p> |
| <p>寄託にあたって「核型検査」が必須項目となっているが「核型異常」株は寄託不可という決まりも付加されるか。</p> | <p>核型異常は寄託不可です。ただし、研究に支障が無いと判断される場合は可とします。</p> |

| | |
|---|--|
| <p>疾患によっては規定の寄託（10本 / 株 x 3 クローン）に十分なクローンの取得が難しい場合があり、「核型正常」も必要条件と定めているが、この寄託数条件は決定事項か。</p> | <p>決定事項です。</p> |
| <p>1点検査の「核型正常」結果は、その後の継代に伴う核型異常の付加の可能性を排除できないが、拠点はその「責任」を問われることはあるか。</p> | <p>基本的にありません。</p> |
| <p></p> | <p></p> |
| <p>提案書の中に企業名を出すと、知財の関係で創薬研究に支障が発生する可能性がある。</p> | <p>具体的に企業名の記載があると、企業との関係が具体的になりますが、企業名の記載は必須ではありません。</p> |
| <p>若手研究者育成計画書の「2. 若手研究者採用候補者及び研究指導者」欄の研究指導者氏名には、若手研究者候補者の上司も参画するが分担機関にはならない場合に、その上司あるいは拠点の代表研究者のいずれを記載するのか。</p> | <p>若手研究者候補者の研究開発を実際に指導する研究者の氏名を記載してください。</p> |