



平成 29 年度

再生医療の産業化に向けた評価基盤技術開発事業
(再生医療技術を応用した創薬支援基盤技術の開発)

公募説明会



2017.4.19

再生医療研究課の所管業務

AMEDでは各省連携プロジェクト「再生医療実現プロジェクト」に基づき、「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」及び「再生医療の産業化に向けた評価基盤技術開発事業」が連携して再生医療の実現に向けて基礎から臨床段階まで切れ目なく一貫した支援を行っています。



再生医療の産業化に向けた評価基盤技術開発事業

事業の内容

事業目的・概要

- iPS細胞等の幹細胞を用いた再生医療は、臨床現場の新たな治療の選択肢となるとともに、創薬ツールとしての応用が期待されており、国民の健康増進に大きく寄与することから、市場の急速な拡大が予想され、国際競争も激化しています。
- こうした背景から、再生医療を支える周辺製品市場での我が国企業の国際競争力を高めるとともに、再生医療等製品の実用化を促進し、さらに、再生医療技術に応用した新薬創出を加速する取り組みを進めていきます。
- 具体的には、再生医療の産業化のために、
 - ①現在未確立であるiPS細胞等を高品質かつ大量に培養する技術の開発、及び、これらの技術の標準化の推進
 - ②個々の再生医療等製品に特有となる安全性、有効性に関する試験項目の明確化、及び、必要な評価手法の開発
 - ③再生医療技術に応用し構築した様々な臓器の細胞を利用した、医薬品の安全性等を評価するための基盤技術の開発等を進めていきます。

成果目標

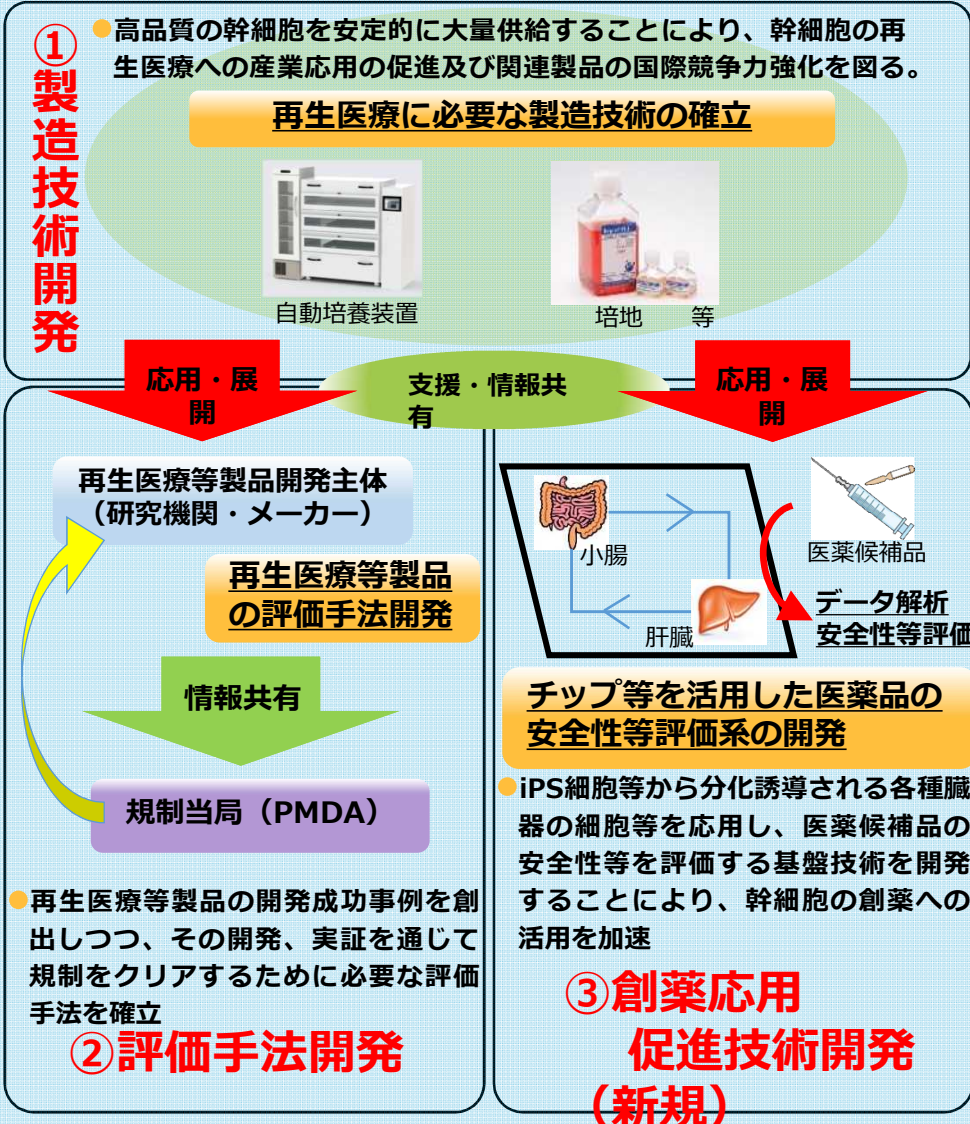
平成26年度から平成30年度までの5年間の事業であり、

- ①平成31年度までに当事業で開発した再生医療等製品の製造機器等の論文等への引用20件、
- ②平成30年度までに再生医療等製品の評価手法の対象品目の薬事申請3件、
- ③平成35年度までに、本事業で開発した創薬支援ツールの製薬企業等の利用件数 30件を目指します。

条件（対象者、対象行為、補助率等）



事業イメージ



再生医療の産業化に向けた評価基盤技術開発事業



事業の内容

事業目的・概要

- iPS細胞等の幹細胞を用いた再生医療は、臨床現場の新たな治療の選択肢となるとともに、創薬ツールとしての応用が期待されており、国民の健康増進に大きく寄与することから、市場の急速な拡大が予想され、国際競争も激化しています。
- こうした背景から、再生医療を支える周辺製品市場での我が国企業の国際競争力を高めるとともに、再生医療等製品の実用化を促進し、さらに、再生医療技術に応用した新薬創出を加速する取り組みを進めていきます。
- 具体的には、再生医療の産業化のために、
 - ①現在未確立であるiPS細胞等を高品質かつ大量に培養する技術の開発、及び、これらの技術の標準化の推進
 - ②個々の再生医療等製品に特有となる安全性、有効性に関する試験項目の明確化、及び、必要な評価手法の開発
 - ③再生医療技術に応用し構築した様々な臓器の細胞を利用した、医薬品の安全性等を評価するための基盤技術の開発等を進めていきます。

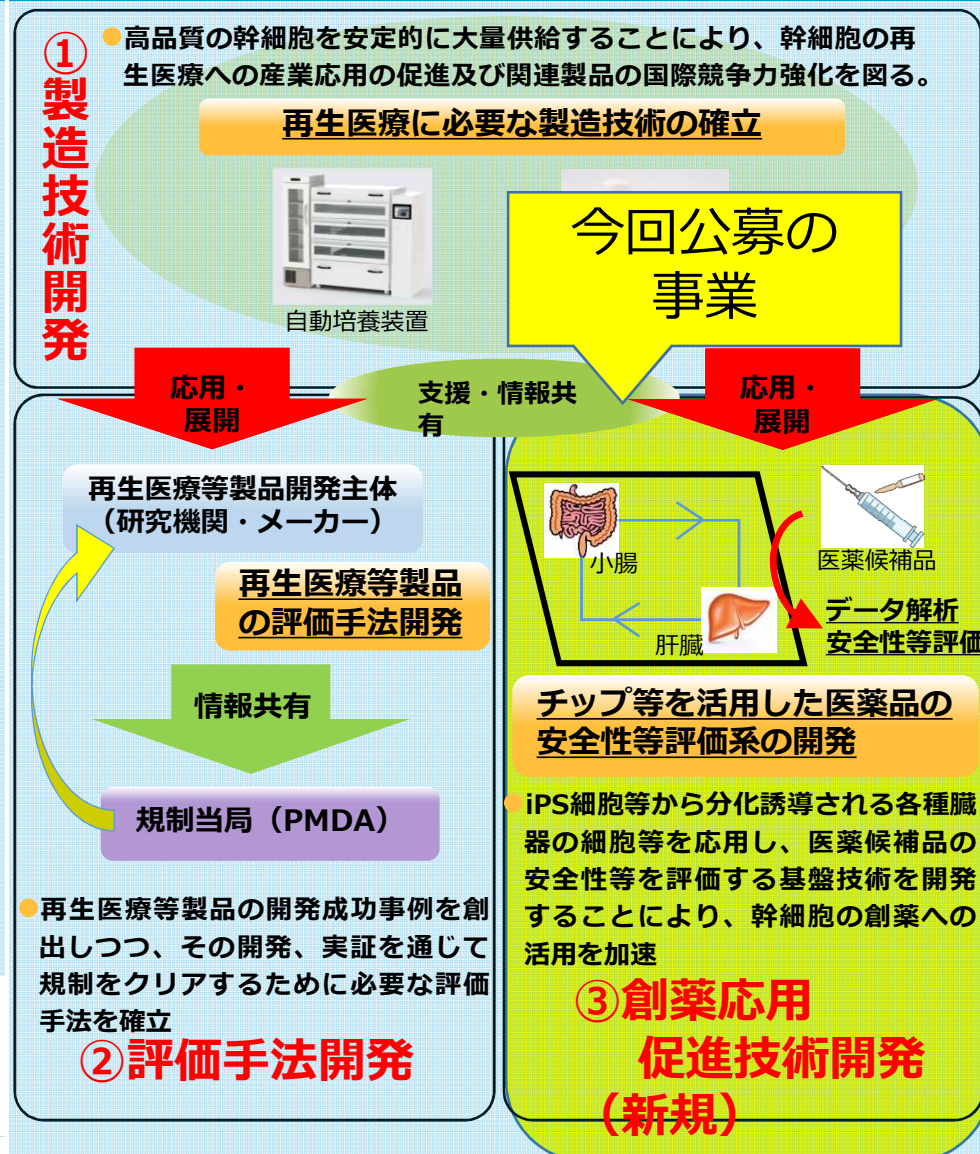
成果目標

- 平成26年度から平成30年度までの5年間の事業であり、
- ①平成31年度までに当事業で開発した再生医療等製品の製造機器等の論文等への引用20件、
 - ②平成30年度までに再生医療等製品の評価手法の対象品目の薬事申請3件、
 - ③平成35年度までに、本事業で開発した創薬支援ツールの製薬企業等の利用件数 30件を目指します。

条件（対象者、対象行為、補助率等）



事業イメージ

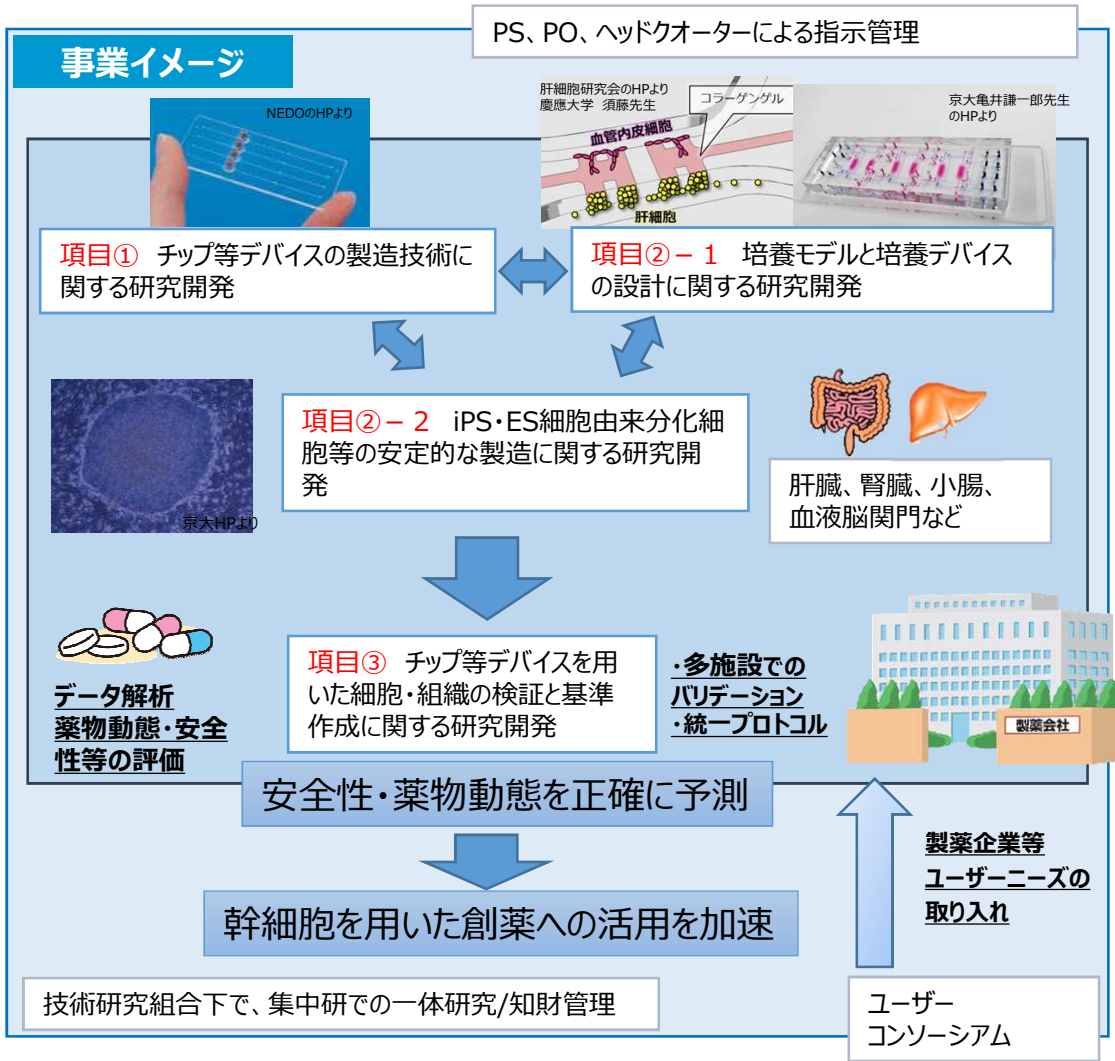


再生医療の産業化に向けた評価基盤技術開発事業 (再生医療技術を応用した創薬支援基盤技術の開発)

○ 事業期間 : H29~33年度 (最長5年)



【概要】iPS・ES細胞等から分化誘導される各種臓器の細胞等を応用し、医薬候補品の安全性等を評価する基盤技術を開発することにより、幹細胞の創薬への活用を加速することを目的とします。具体的には、各種臓器の細胞を立体培養・共培養など高精度な培養技術で培養し、チップ等デバイス上に搭載することでOrgan-on-a-Chipシステムを構築し、デバイス上で化合物の安全性や薬物動態等を評価するための基盤技術を確立します。



組織工学的手法により、臓器特異的な高次の機能発現に必要な培養技術を開発します。
(立体培養や灌流技術による生体環境に近い培養法の確立)

大学等と企業が連携し、iPS・ES細胞の創薬利用に向けて、バリデーション等を実施します。

製薬企業及び大学等の研究機関が協力し、構築したOrgan-on-a-chipシステムについて多施設での評価を行い、標準プロトコルを作成します。

各研究課題が有機的に連携し、一体的に研究開発を推進します。

【期待される成果】

- ・従来期待できなかった、小腸の吸収・代謝機能や肝臓の高次代謝機能を再現
- ・iPS・ES細胞から分化された細胞の安定的な製造法の確立 (品質評価法など)
- ・前臨床試験までにヒト生体内における安全性等を高い信頼性で予測できる革新的な評価技術を確立

本事業の要点

- H29~33年度、5年間の事業（項目2-2は3年度の研究開発期間）
- 医薬候補品の安全性・薬物動態を評価する基盤技術を開発
- ヒト細胞での評価系確立が目標
- 実用化を重視し、一体した事業運営
- 製薬企業等ユーザーニーズを取り入れた目標設定・指示管理

対象外の項目

- 培養・分化等の基礎研究
- 医薬品の有効性（薬効薬理）評価
- 疾患iPS細胞等、疾患細胞(2-2若手を除く)

公募する研究開発項目



#	分野等、公募研究開発課題名	研究開発費の規模 (年間、1課題当たり、 間接経費を含む)	研究開発実施 予定期間	採択予定数
1	チップ等デバイスの製造技術に関する研究開発	100,000~300,000千円	最長5年 平成29年度 ~33年度	0~2
2-1	培養モデルと培養デバイスの設計に関する研究開発	20,000~50,000千円	最長5年 平成29年度 ~33年度	0~6
2-2	デバイスに搭載するiPS・ES細胞由来分化細胞等の安定的な製造に関する研究開発	20,000~30,000千円	最長3年 平成29年度 ~31年度	0~3
2-2 若手	デバイスに搭載するiPS・ES細胞由来分化細胞等の安定的な製造に関する研究開発	10,000千円程度	最長3年 平成29年度 ~31年度	0~3
3	チップ等デバイスを用いた細胞・組織の検証と基準作成に関する研究開発	20,000~40,000千円	最長5年 平成29年度 ~33年度	0~2



研究開発項目 1 のポイント

- デバイスの製造技術、産業用の製造、デバイスをつなぐ技術について、一括して委託します。
- 研究開発項目2-1で開発されたデバイスを試作製造し、連結する事が求められます。
- デバイスについて、合理的な製造コストで安定的な検証を行うに十分な量を実証製造していただきます。
- 実用化・事業化を担う企業等が参画しており、事業を通じて製造開発された技術について、事業中もしくは事業終了後に参画する企業が販売を行うことが求められます。
- 研究を実施するための施設・設備の整備が必要です。特に、他項目で開発された要素技術を連結させ、研究開発を実施するための施設・設備が必要となります。

研究開発項目2-1のポイント

- 細胞を用いた培養モデル開発、Organ-on-a-Chip等デバイスの設計・開発を一括して実施します。
- 薬物動態試験・安全性などの創薬スクリーニングへの応用を目的とします。
- 小腸・肝臓・腎臓・血液脳関門（BBB）を構成する、または、それらに関わる組織・臓器を対象とします。
- 具体的な評価系の例は公募要領の34, 35ページを参照ください。これらはあくまで例示です。スクリーニングに有用な系を提案してください。

研究開発項目2-2のポイント

- デバイスに搭載するiPS・ES細胞由来分化細胞等の安定的な製造に関する研究開発です。分化誘導法についての基礎研究は対象外です。
- 原則として、大学等と企業等による共同の応募とし、大学等を代表機関、企業等を分担機関として下さい。一方で企業の研究費については全てを本事業費で賄うことは想定しておりません。
- 事業を通じて開発された細胞について、参画する企業が販売を行うことが出口として求められます。
- 小腸・肝臓・腎臓・血液脳関門（BBB）を構成する、または、それらに関わる組織・臓器を対象とします。
- 創薬スクリーニング等の用途に必要なバリデーション・プロトコル確立・品質評価管理法確立などを実施していただきます。

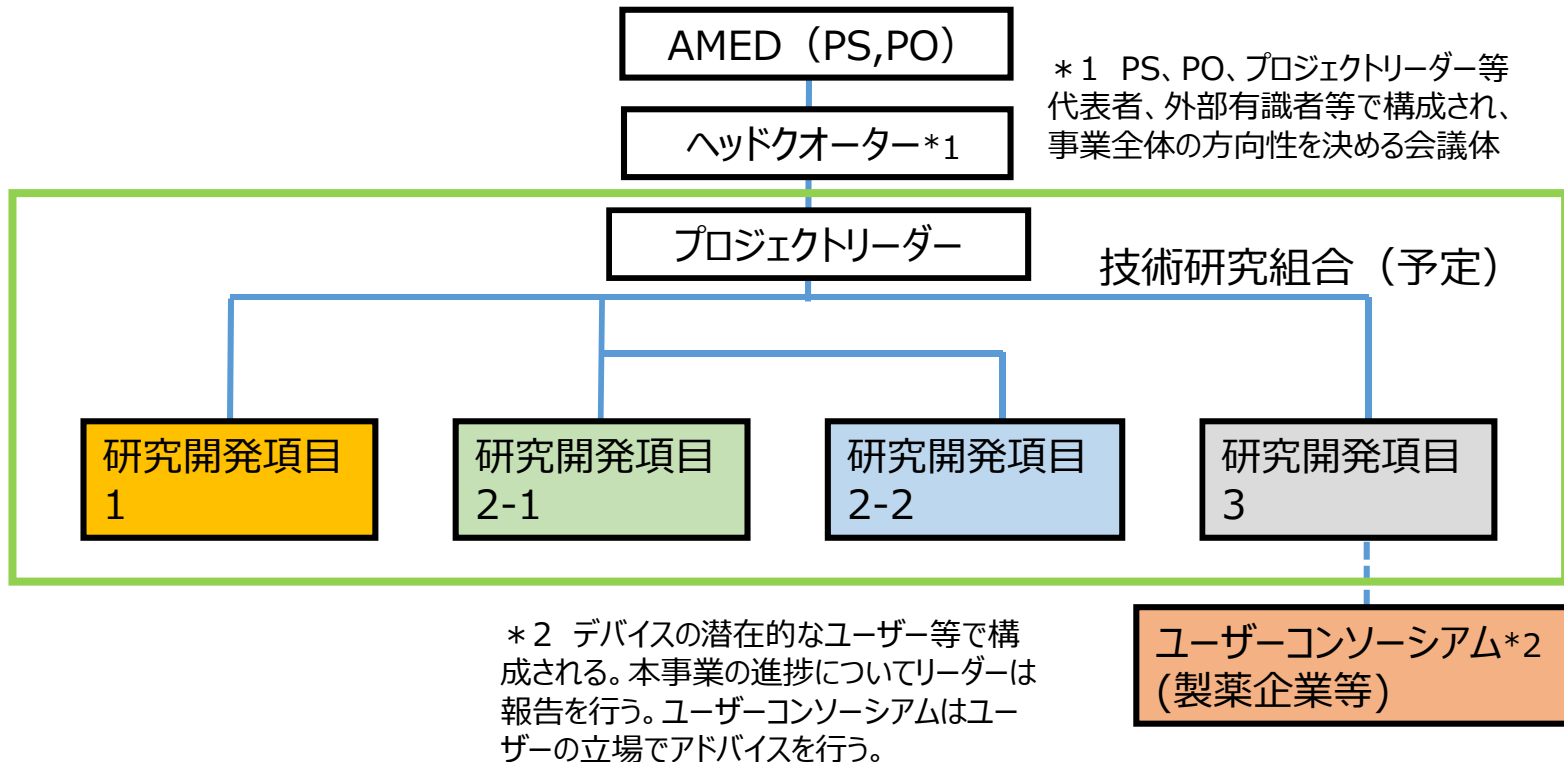
研究開発項目2-2(若手)のポイント

- 研究開発代表者は、満39才以下の者(1977年4月2日以降に生まれた者)を対象とします。産前・産後休業及び育児休業を取得した者は、満39才以下の制限にその日数を加算することができます。
- デバイスに搭載するiPS・ES細胞由来分化細胞等の安定的な製造に関する研究開発です。分化誘導法についての基礎研究は対象外です。これまで行われた分化誘導法についての基礎研究の成果を活用し、創薬スクリーニング用に最適化させる研究が対象です。
- 成果を論文等により公開することが求められます。ただし、特許取得等の理由がある場合は、公開のタイミングを遅らせることも可能です。
- 細胞製造を担う企業が参画している場合は、事業を通じて製造開発された細胞について、販売をおこなう事を前提とした研究計画を策定することが求められます。なお、企業等の参画は必須ではありません。
- 医薬候補品の薬物動態若しくは安全性試験実施に有用な細胞を対象とします。

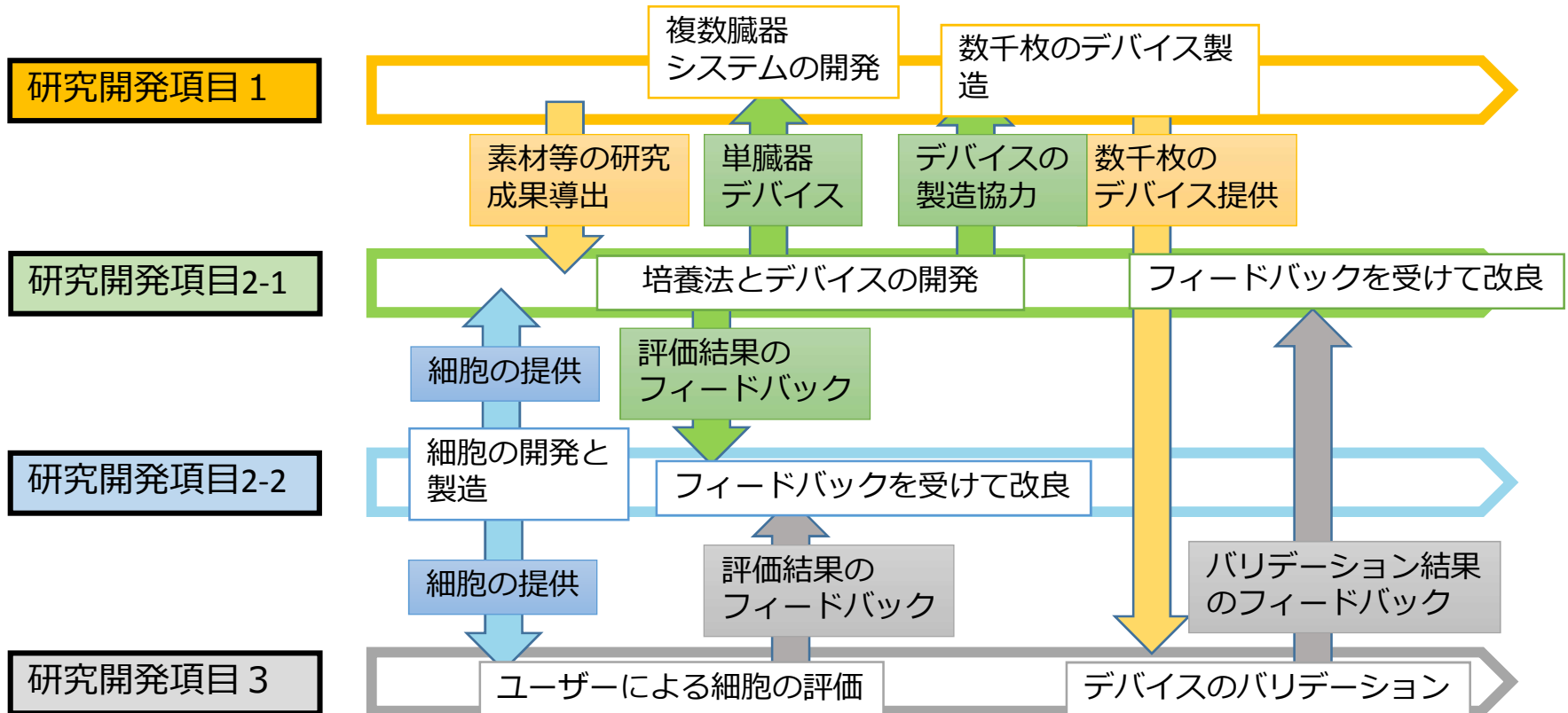
研究開発項目3のポイント

- 標準的な細胞機能の基準作成、及び研究開発項目1, 2で開発されたデバイスを用いた細胞・組織の検証試験と基準作成を実施します。
- 大学等と複数の企業等（製薬企業等）が共同して提案することが求められます。
- 大学等を中心として、複数の機関でバリデーションを実施することが求められます。
- 医薬候補品の薬物動態若しくは安全性試験実施に有用な細胞を対象とします。
- 基準・検証に当たっては、複数の製薬企業等の意見を取り入れ、創薬に於ける薬物動態試験・安全性試験に必要な項目を自ら抽出し、提案して下さい。

実施体制についての概念図



各項目の連携についての概念図



スケジュール

公募期間 平成29年4月3日(月)～平成29年5月19日(金)正午
提出期間 平成29年4月3日(月)～平成29年5月19日(金)正午
e-Radでの提出

書面審査 平成29年5月下旬～6月中旬 (予定)
ヒアリング審査 平成29年7月3日(月) (予定)

(注1) ヒアリング審査は一部の課題に実施します。

(注2) ヒアリング対象課題の研究開発代表者又は代表機関の事務担当者に対して、ヒアリング審査の1週間ほど前までにEメールにて御連絡します。

(注3) ヒアリング対象課題の研究開発代表者に対して、書面審査の過程で生じた照会事項を電子メールで送付する場合があります。

採択可否の通知 平成29年7月中旬 (予定)

契約締結/研究開始 平成29年8月下旬 (予定)

(注1) 採択対象となった課題の研究開発代表者に対しては、**ヒアリング結果を踏まえた計画の修正を求めことや、採択条件を付することがあります。**これらの場合においては、計画の妥当性について、再度検討を行う可能性があることについてご承知おきください。

(注2) **研究開発は、契約を締結しなければ開始できません。**

この予定日に契約を締結するためには、研究開発計画（研究開発費や研究開発体制を含む。）の作成や調整について、**研究機関等のみなさんにご協力を頂くことも必要となります。**

(注3) 、各公募課題として採択された研究の成果を統合し、有機的に連携しながら評価システムを構築することが求められますので、採択後はPS、PO、AMEDの指示の下、各研究課題の研究グループ間で一体的かつ円滑な事業推進のために整合性を調整した上で研究開発計画書を作成し、以後協力して研究を進めていただきます。

提案書作成における留意点－ 1

「 9. 研究の目的、必要性及び特色・独創的な点」について

- 目的、必要性を具体的且つ明確に記載して下さい。
- 同時に提案している連携先がある場合、その旨を記載してください。
- 特色・独創的な点については、その特色がわかるように国内外の状況と合わせて記載してください。

「 10. 知的財産マネジメント」について

- 「公募要領II-2-(4) 知的財産マネジメントについて」を参照の上、具体的かつ明確に記載してください。
- 現在の知財状況等をわかりやすく記載してください。
- 競合する先行技術への対応方針、先行技術を踏まえての研究方針について、特に具体的に記載してください。記載が不十分の場合、事務局から問い合わせをさせていただくことがあります。

「 11. 期待される成果」について

- 医薬品候補化合物等の安全性等評価にどう貢献できるか、との観点を中心に記載してください。
- 成果に至る道筋を書き、絵空事でないことを示してください。

「 12. 研究計画・方法」について

- 研究計画・方法を具体的に記載してください。
- 研究開発項目が複数ある場合は、それぞれ年度毎に最低1つ、マイルストーンを設定し、それを達成するための方法を記載してください。

提案書作成における留意点－ 2

「13. 研究の主なスケジュール」について

- 「12. 研究計画・方法」の記載と対応させてください。

「18. 研究開発代表者の研究歴等」について

- 研究開発代表者のみ記載してください。分担者は不要です。

「19. 研究に要する経費」について

- 主な現有設備・賃借する設備・購入予定の設備をそれぞれ記載してください。
- 主な外注予定について記載してください。

「20. 他の研究事業等への申請状況」について

- 本事業に同時に提案している場合、その旨を記載してください。
- 代表者・分担者双方記載してください。

「21, 22」について

- 代表者・分担者双方記載してください。

審査項目と観点

1. 事業趣旨等との整合性
2. 科学的・技術的な意義及び優位性
3. 計画の妥当性
4. 実施体制
5. 所要経費

1. 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
- ・ユーザーや市場のニーズ等を踏まえた実用性のある内容となっているか

2. 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
- ・新技術の創出に資するものであるか
- ・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
- ・産業化に向けた知財戦略が妥当か
- ・産業化に向け、標準化等に対応するための戦略が妥当か
- ・グローバルで競争力のある技術になりうるか

3. 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

4. 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／過度の集中は無いのか

5. 所要経費

- ・経費の内訳、支出計画等は妥当であるか

複数応募・連携した応募について

- 複数の公募研究開発課題への応募は認められますが、競争的研究資金の不合理的な重複及び過度の集中（詳細はⅤ．章 9．（4）を御参照ください）に該当しないことを示すため、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。
 - 代表研究者及び分担研究者に当てはまります。
 - 項目にかかわらず当てはまります。
- 項目2-1：複数の臓器を1つの提案書で提案することは可能ですが、類似のデバイスを用いているなど、合理的な理由がある場合に限りです。それ以外の場合は、別々の課題として応募してください。
- 項目間で連携して提案することも可能です。その際は、それぞれで提案書を作成し、提案書に連携予定について記載してください。提案毎に審査を行いますので、一方のみ採択されることもあります。

【e-Rad 注意事項】

- 平成29年度の「再生医療の産業化に向けた評価基盤技術開発事業(再生医療技術を応用した創薬支援基盤技術の開発)」への応募は、e-Radで行ってください。
- e-Radの使用に当たっては、研究機関および研究者の事前登録が必要です。登録手続きに日数を要する場合がありますので、1週間以上の余裕を持って登録して下さい。
- 実際のお応募の際は、e-Radポータルサイト（<http://www.e-rad.go.jp/>）上にある「研究者向け マニュアル」をご参照下さい。
- 締切を過ぎた応募は受理できません。余裕を持った応募を心がけて下さい。特に、締切直前は、応募が混み合い、申請に予想以上の時間がかかる可能性があります。
- 研究代表者が申請した段階では応募は完了していません。所属機関のe-Rad事務代表者の承認手続きが必要となります。

ご静聴ありがとうございました。