



平成30年度

再生医療の産業化に向けた評価基盤技術開発事業  
(再生医療等の産業化に向けた評価手法等の開発)

公募説明会



2017年11月21日

# I. はじめに（事業の概要）



# 再生医療研究課の事業について

AMEDでは「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」、「再生医療臨床研究促進基盤整備事業」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ならびに創薬等への活用に対し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について

- 再生医療の産業化に向けた細胞製造・加工システムの開発  
再生医療等製品の原料となる細胞の培養技術や加工・保存技術の開発について
- **再生医療等の産業化に向けた評価手法等の開発**  
再生医療等製品の製造販売に向けて規制当局に対し必要となる品質・安全・有効性に関する評価手法の開発など
- 再生医療技術を応用した創薬支援基盤技術の開発  
iPS細胞から分化させた各種臓器細胞をチップ等のデバイスに搭載し、デバイス上で新薬の候補化合物等の薬物動態や安全性に関する評価を可能にするための技術の開発

# 事業の目的（概要）

現在、iPS細胞・ES細胞・体性幹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。一方で、再生医療等製品\*やその周辺機器、加工プロセス等に関する安全性、有効性、品質等の評価手法は必ずしも全てが確立していないのが現状です。

- 本事業では個々の再生医療等製品に特有となる安全性・有効性及び製造・加工プロセス変更時の同等性等に関する評価項目やその指標等を明確にし、合理的な評価手法を開発することを支援します。
- これらの成果を事業者に公開していただくことにより、後続の再生医療等製品の産業化に役立てることを目的としています。



※ 本事業においては、**治療を目的としない手術（美容整形など）**のための製品や、治療を目的とするものの**最終製品に細胞が含まれない製品**は対象外

## 公募対象（5. 採択条件）

公32

### ①・②のうちいずれかに該当すること

- ① 再生医療等製品の治験（医師主導治験を含む）を開始するために必要な品質・安全性・有効性に関するデータのうち、**既存の評価手法では対応困難なため新たな手法を用いる必要がある**ことが、申請時点でPMDAとの**対面助言もしくは事前面談**を通じて確認されているもの（8. 研究開発提案書添付書類に示すレギュラトリーサイエンス戦略相談等の記録の添付が必要となります）。
- ② 再生医療等製品の**品質・製造コスト等の改善**が見込まれる評価手法・製造工程の合理化について具体的な提案が可能であること。ただし、**改善前の評価手法・製造工程については申請時点でPMDA対面助言により合意に至っているもの**

### 公募対象外の例

- 再生医療等製品の評価手法や品質改善・コスト軽減になり得るが、具体的な製品開発と結びついていないもの
- 臨床研究を実施していても、申請時点でPMDAと製造販売承認に必要な評価手法について相談されていないもの

## Ⅱ. 応募に関する諸条件等



# 応募資格者

- 本事業は一定の要件（公募要領3ページ「1. 応募資格者」参照）を満たし、国内で再生医療等製品（治療を目的としない手術や、治療を目的とするものの最終製品に細胞を用いない製品は含まない）を開発中の事業者あるいは医療機関等の法人の研究開発代表者が応募できます。（e-Radで研究機関の承認が必要です）
- 企業以外の大学等機関が応募する場合は、再生医療等の産業化を促進する本事業の主旨から、応募の時点で製造販売承認取得を進める企業との共同研究契約等を締結している必要があります。
- 研究に参画する研究者・研究機関においては、
  - ① 不正行為等により国又は独立行政法人等が所掌する研究資金制度に対する応募制限がないこと（21ページ）
  - ② 研究機関は契約後にAMED RIOネットワークに加入し、研究者に研究倫理教育を履修させ、翌年5月末までに履修状況を取りまとめて報告することが可能であること。（17, 18, 21ページ）



## Ⅲ. 公募・選考の実施方法



## 契約の概要

契約形態：AMEDによる委託契約

採択件数：0～6件程度（予定；応募状況によっては変更もあり得ます）

予算規模：1件あたり**直接経費 1千万円～5千万円程度**  
（間接経費として上限30%を別途計上可能）

契約期間：平成30年4月1日（予定）～平成31年3月31日

- \* 最終的な実施内容、契約金額についてはAMEDと調整した上で決定することとします。
- \* 実施予定額は事前評価の結果等により、額が査定されることがあります。
- \* 必要に応じて、事前評価の段階で事務局から積算内容について意見聴取を行うことがあります。

## スケジュール

公募期間 平成29年11月10日(金)～平成29年12月13日(水) **正午**

提出期間 平成29年11月10日(金)～平成29年12月13日(水) **正午**

書面審査 平成29年12月中旬～平成30年1月上旬 (予定)

ヒアリング 平成30年1月24日 (水) ※

(※) 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**7日前まで**にEメールにて御連絡します。

採択可否の通知 平成30年2月下旬頃 (予定)

契約締結/研究開始 平成30年4月1日 (予定)

## 審査について

- 審査は、AMEDに設置した課題評価委員会において、非公開で行います。  
（採択課題の研究開発課題名や研究開発代表者氏名等は、後日、AMEDウェブサイトへの掲載等により公開します。）
- 応募者は、AMED役職員、プログラムディレクター（PD）、PS、POならびに評価委員に対し、評価及び採択についての働きかけを行わないでください。
- 審査項目と観点については8～9ページに示しています。各項目を勘案した「総合評価」の評価点に基づいて、採択を判断します。
- 書面審査での評価結果をもとに、必要に応じてヒアリングを実施します（ヒアリングを経ずに採択となる場合もあります）ヒアリングでは申請について評価委員から質疑を行います。
- 申請課題の評価点ならびに全申請の評価点の分布を通知します。また、不採択課題については、評価委員からの主なコメント（強み、弱み）についてフィードバックします。個別の評価に関するお問い合わせにはお答えできませんのでご了承ください。

- 採択結果は文書にて通知しますが、AMEDホームページに採択結果が掲載されるまでは公表はお控えください。**AMEDホームページ掲載前に、大学や企業のホームページに、採択結果を公表しないようご注意願います。**
- 採択決定後速やかに、契約の準備をお願いします。契約書式についてはAMEDホームページに書式がありますので、迅速な作成をお願い致します。

- 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ると、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。
- **研究開発は、契約を締結しなければ開始できません。**平成30年4月1日から研究開発を開始するには、機構内での確認のため**2週間以上前には契約書類が完成している必要があります。**契約が間に合わない場合、**研究開発を開始できず影響も大きいことから、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お願いします。**

## IV. 提案書類の作成と注意

公募要領10～12ページをご覧ください



## V. 委託研究開発契約の締結等





## 契約について

- 採択課題については、研究機関とAMEDの間で年度ごとに**委託研究開発契約**を締結します。科研費などの補助金とは取扱い方法が異なりますので、必ず「委託研究開発契約事務処理説明書」（AMEDホームページ内「事業手続き（様式集など）」のなかに格納 [https://www.amed.go.jp/keiri/youshiki\\_itaku.html](https://www.amed.go.jp/keiri/youshiki_itaku.html)）を申請者、経理・契約担当者ともに確認いただきますようお願いいたします。
- 研究分担機関で使用する経費については、原則として研究代表機関からの再委託契約のもと、配分していただきます。なお、同一機関内の別の研究室などの場合は、再委託とはなりません。
- 契約締結後も、研究者リストの追加・削除・修正（所属職名変更）については随時、変更届で対応をお願いいたします。**変更しようとする日付の翌月10日までに届出**を行ってください。また、契約書や研究計画書の変更を伴う場合は、変更申請が必要となることから、早めにご相談ください。
- 特に、委託費については適正に執行することが求められますので、会計検査を念頭に管理いただきますようお願いいたします。

# 本事業にて支出可能な項目

本事業では、上記の項目に関する費目構成を以下の通りに設定しています。

	大項目	定義
直接経費	物品費	試作品、ソフトウェア（既製品）、書籍購入費、研究用試薬・材料・消耗品・備品の購入費用（この事業では研究用設備の購入はできません）
	旅費	研究開発参加者に係る旅費、招聘者に係る旅費
	人件費・謝金	当該委託研究開発のために雇用する研究員等の人件費、講演依頼謝金等の経費
	その他	上記の他、当該委託研究開発を遂行するための経費例） 研究成果発表費用、会議費、運搬費、 <b>機器リース費用</b> 、機器修理費用、印刷費、ソフトウェア外注制作費、検査業務費、不課税取引等に係る消費税相当額等、再委託費
間接経費	直接経費に対して一定比率（ <b>30%以内</b> ）で手当され、当該委託研究開発の実施に伴う研究機関の管理等に必要な経費としてAMEDが支払い、研究機関が使用する経費	

機器リースについては、オペレーティングリースを想定しています。個々の見積もりについて契約時に確認いたします。

## 「設備」・「備品」・「消耗品」についての考え方

委託研究開発契約事務処理説明書 21・22ページ

### **設備（資産） →この申請では購入できません**

取得価格が50 万円以上（消費税込み）で、かつ耐用年数が1 年以上のもの

### **備品**

取得価格が10 万円以上（消費税込み）50 万円未満（消費税込み）で、かつ耐用年数が1 年以上のもの

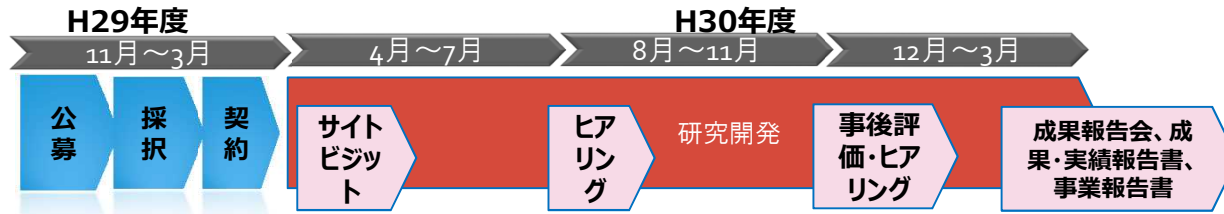
### **消耗品**

取得価格が10 万円未満（消費税込み）のもの、又は耐用年数が1 年未満のもの

## VI. 採択課題の管理と評価



# 研究開発の主なスケジュール



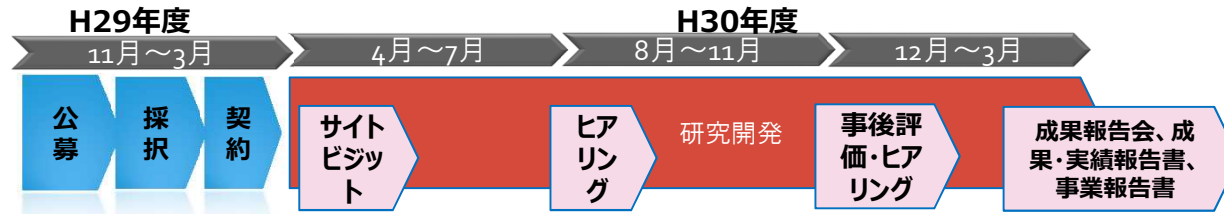
各課題については、AMED並びにプログラムスーパーバイザー（以下「PS」という。）及びプログラムオフィサー（以下「PO」という。）によるサイトビジット及びヒアリングを実施します。

本事業のPS：京都大学iPS細胞研究所 顧問 ：中畑龍俊

本事業のPO：産業技術総合研究所生命工学領域創薬基盤研究所  
医薬品アッセイデバイス研究グループ グループ長 ：金森敏幸

東北大学病院臨床研究推進センター情報政策部門 部門長 ：白戸 崇

# 研究開発の主なスケジュール



- 事業等の推進に当たって必要とされた場合に限り、「課題評価委員会」による中間評価が実施されます。この結果、必要に応じ計画の見直し、変更、中止、各課題の実施体制の変更等の事業の再編を求めることがあります。
- 研究開発期間中、適切な情報管理のもと、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）が実施する「レギュラトリーサイエンス戦略相談」等における各種面談に **AMED が同席すること**を承諾し、対面助言の記録及びこれに関連する情報を AMED に共有していただきます（契約書の別記として明記されます）。

## Ⅵ. 研究開発成果の取扱い

公募要領25ページをご覧ください



## プレスリリース・取材対応について

- この事業の成果をマスコミに向けて共同プレスリリースを行う場合には、事前（発表予定日の3～4週間前が望ましい）に届出ならびに原稿のチェックが必要となります。
- この事業に関連した成果を展示会などで公表する際には、事前に「成果利用届」の提出が必要となります。
- この事業に関連した取材を受け、新聞記事などになる可能性が高い場合には、担当者まで情報提供をお願いします。



## Ⅷ. 取得物品の取扱い

公募要領26ページをご覧ください

なお、企業等※<sub>2</sub>による取得物品の所有権は、取得価格が50万円以上(消費税含む。)かつ耐用年数が1年以上のものについてはAMEDに帰属するものとなっておりますが、設備費はこの公募の対象外のため、この項目に該当する物品はありません。



# IX. その他

# X. 照会先

公募要領27～31ページをご覧ください



# XI. 公募研究開発課題



# 提案書作成における留意点

1. 提案書には開発スケジュールならびにPMDAとの面談の状況を**必ず記載**してください。
2. この事業では「設備」に該当する購入ができません（アカデミア・企業共通）。
3. 採択額を一定の係数で減額するようなものではないため、評価手法の開発に必要な最小限の費用のみを積み上げて申請するようお願いします。
4. 採択後において各年度の予算の状況により配分額に変動が生じる可能性があります。  
応募に当たっては各年度の研究計画に従い、適切な予算配分をしてください。本事業の経費において間接経費は直接経費の**30%以内**となります。
5. 提案書に加え、必要な添付資料が具備されていない場合、審査対象外となる可能性があります。

# 本事業で求める成果

本事業において上記の再生医療等製品を開発する際に必要とされる評価手法及び製造工程の合理化について、以下の観点※<sup>1</sup>で研究開発提案書に具体的に記載してください※<sup>2</sup>。

## ①評価手法

- 規制上の要求事項等との関係
- 既存法（直接対応する手法がない場合は、代理で使用される手法）の問題点
- 既存法の問題点を解決する別手法の提案及び同提案が有望であるとする根拠
- 別手法が妥当であることを示す方法
- 個別製品特有の評価手法に留まらず、普遍的な評価手法とするための工夫

## ②製造工程の合理化

- 当該工程の製造管理及び品質管理基準上の重要性
- 既存工程の問題点
- 既存工程の問題点を解決する別手法の提案
- 別手法が妥当であることを示す方法
- 個別製品特有の製造工程に留まらず、普遍的な製造工程の合理化に資するための工夫

※<sup>1</sup> 大学等において医師主導治験を実施する提案については、企業への導出や製造販売承認取得のために必要となる製造工程の変更やそれに伴う同等性評価のための工夫を具体的に記載して下さい。

※<sup>2</sup> 評価手法の検討に当たっては、関連する既存の規制・基準・指針等を必要に応じて参照すること。

# 研究開発提案書添付書類

## 1. レギュトリーサイエンス戦略相談等の記録（対面助言記録、事前面談の概要）

再生医療等製品の承認申請時に必要となる資料について、十分な理解の下で試験を遂行する必要があります。本公募に対する申請時点までに当該再生医療等製品に関して受けたPMDAの実施するレギュトリーサイエンス戦略相談等について、各々の戦略相談に係る記録（対面助言においては対面助言記録、事前面談においては申込者が作成した概要の記録）の提出を求めます。

## 2. 医師主導治験または企業治験の実施計画書

再生医療等製品の製造販売承認（企業への導出等）を目的とした医師主導治験または企業治験の実施計画書。その計画書において試験全体の工程表及び実現可能なマイルストーンが明記されている必要があります。また、研究開発提案時点で、医師主導治験または企業治験の実施計画書が完成されていない場合は、プロトコルコンセプト※1を提出してください。

※1 プロトコルコンセプトについては、目的（主要評価項目を含むこと）、背景及び試験計画の根拠（対象、対象に対する標準治療、治療計画設定の根拠）、患者選択基準、効果判定と判定基準、統計的事項（主たる解析と判断基準、目標症例数の算定／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してください。

## 3. 企業との連携状況（企業以外の大学等機関が主体の場合）：共同研究契約書等

再生医療等の産業化を促進する本事業の主旨から、出口戦略として開発中の再生医療等製品の製造販売承認取得を前提とした企業の役割を研究計画書へ具体的に明記するとともに、締結した共同研究契約等の提出を求めます。

# 対象となる面談について

1. 再生医療等製品の相談業務のうち、以下のもの
  - i. 治験相談等（再生医療等製品の先駆け総合評価相談、事前評価相談、対面助言事後相談及び信頼性基準適合性調査相談を除く）
  - ii. 先駆け総合評価相談
  - iii. 事前評価相談
  - iv. 信頼性基準適合性調査相談（GCTP含む）
  - v. 事前面談
  - vi. 対面助言事後相談
2. レギュトリーサイエンス（RS）戦略相談（旧薬事戦略相談）のうち、以下のもの
  - i. 事前面談
  - ii. 対面助言

**簡易相談、RS総合面談（旧薬事戦略相談個別面談）のみの場合は  
申請の**対象外**です。**

## 【e-Radにおける注意事項】

- 平成30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(再生医療等の産業化に向けた評価手法等の開発)」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。
- この文書は応募の簡単な流れを説明するものです。実際の応募の際は、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一切受理できません。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。
- 本マニュアルは、更新されることがありますので、随時確認して下さい。