



2019年度

再生医療・遺伝子治療の産業化に向けた
基盤技術開発事業
(再生医療シーズ開発加速支援)

公募説明会



2019年5月17日（東京）・ 22日（大阪）

※スライド及び説明の内容は、あくまで補足説明となります。
正確な内容については、公募要領をしっかりとご確認ください。

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・遺伝子治療の産業化に向けた基盤技術開発事業」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。



文科省

厚労省

経産省

●事業概要



【概要】 再生医療シーズの開発を進める民間企業（アカデミア発のベンチャー企業を含む）においては、規制当局が求める非臨床試験や、GCTPに沿った細胞加工物の製造や品質管理等に対応できずシーズ開発が中断し迅速な企業治験につながらないこと、あるいは再生医療等製品は製品の製造工程や品質管理、安全性・有効性等評価の方法や規格の設定が確立されておらず、既存の医薬品等の製造工程や評価項目をそのまま適用できないことが、再生医療等製品の産業化における大きな障壁の一つとなっています。

そこで本事業では、産業化を見据えた再生医療等製品シーズに対し、開発の主体となるベンチャー等を含む企業が臨床開発に進むために必要な薬事規制に沿った非臨床試験の実施や製造方法の確立、評価指標を開発するため、CMO/CDMOやCROと連携し薬事対応を意識した開発体制の構築等を通し、ベンチャー・キャピタル等からの支援や製薬企業等への導出を可能にするための支援を行います。また、再生医療等製品シーズ開発の産業化に資する個別要素技術の開発を支援することで、再生医療等製品のサプライチェーン（製造、品質管理、輸送等）の構築を目指すと共に周辺産業の裾野拡大を図ります。

事業イメージ

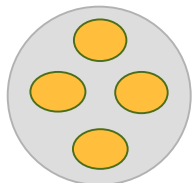
基礎研究

非臨床試験

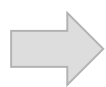
臨床試験・治験

動物実験等で有効性が示されており、再生医療等製品としての開発が期待される再生医療シーズ

課題
1



再生医療シーズ



民間企業（ベンチャー含む）



分担・外部委託等

CMO/CDMO、CRO

規制当局が求める非臨床試験や、GCTPに沿った細胞加工物の製造方法の確立、品質管理、安全性・有効性等評価指標の開発に早期から取り組むことで、実用化すべき有望シーズを磨き上げ、産業化を加速する。



臨床試験・治験

製薬企業等事業
会社との提携

ベンチャーキャピ
タル等からの支援

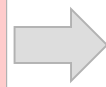
課題
2



再生医療
周辺要素技術

民間企業（ベンチャー含む）

再生医療関連の個別要素技術の製品化を支援することで、将来的に、再生医療等製品シーズの開発に寄与することを想定し、再生医療のさらなる普及と産業化の加速を目指す。



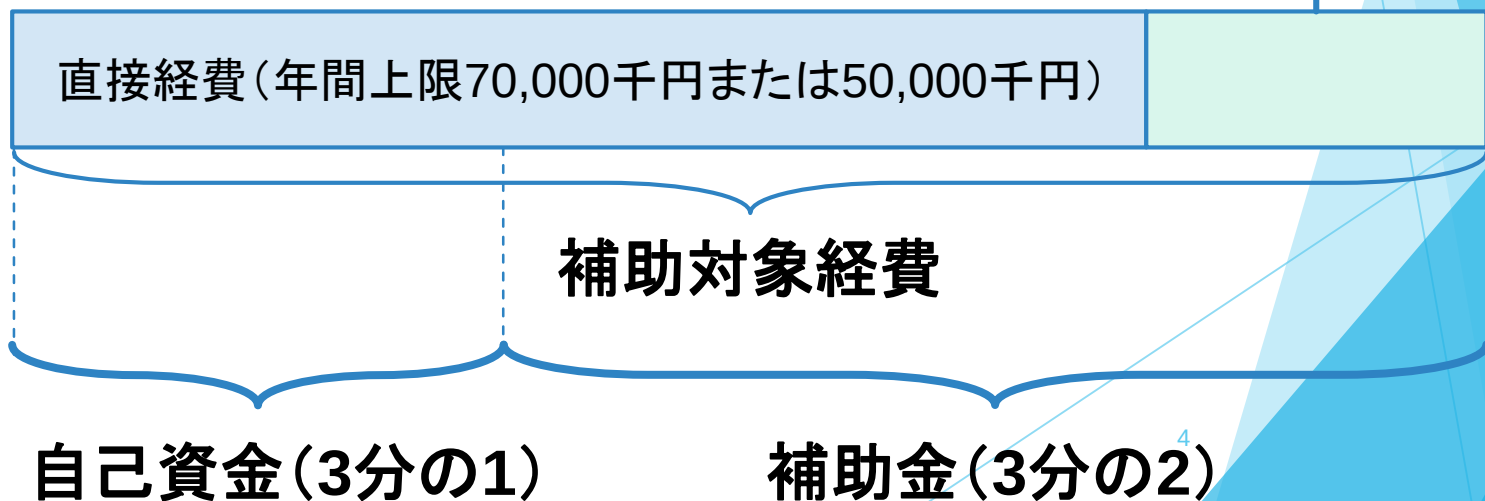
周辺要素技術の製品化

品質管理の効率化・省力化に資する技術や装置、製造工程の簡易化・コスト削減に資する培地や装置、細胞製品の保存・輸送の高度化に資する技術等

●研究開発費の規模等

#	分野等、公募研究開発課題	補助対象経費の規模 (間接経費を含まず)	研究開発実施 予定期間	新規採択課題 予定数
1	再生医療等製品シーズの開発促進	1課題当たり年間 70,000千円程度	最長3年 2019年度～ 2021年度	0～5課題程度
2	再生医療等製品の産業化を支える個別要素技術の開発	1課題当たり年間 50,000千円程度	最長3年 2019年度～ 2021年度	0～3課題程度

間接経費(直接経費の30%まで)



● 本事業にて支出可能な項目

公15

	大項目	定義
直接経費	物品費	研究用設備・備品・試作品、ソフトウェア（既製品）、書籍購入費、研究用試薬・材料・消耗品の購入費用
	旅費	研究開発参加者に係る旅費、外部専門家等の招聘対象者に係る旅費
	人件費・謝金	人件費：当該補助事業のために雇用する研究員等の人件費 謝金：講演依頼、指導・助言、被験者、通訳・翻訳、単純労働等の謝金等の経費
	その他	上記のほか、当該補助事業を遂行するための経費（例） 研究成果発表費用（論文投稿料、論文別刷費用、HP作成費用等）、会議費、運搬費、機器リース費用、機器修理費用、印刷費、外注費、不課税取引等に係る消費税相当額等 ※本補助金には消費税相当額は含まれません。
間接経費	直接経費に対して一定比率（30%以内）で手当され、当該補助事業の実施に伴う研究機関の管理等に必要な経費として研究機関が使用する経費	

補助金取扱要領、補助事業事務処理説明書を熟読し、ルールに沿った提案書の作成をお願いします。

● 本事業にて支出可能な項目

公38

- GCTP に沿った細胞加工物の製造方法確立のための費用
- 信頼性基準や規制当局が求める非臨床試験の試験計画・データ取得のための費用
- 安全性や有効性を担保するための品質・評価指標の開発に係る費用
- PMDA とのレギュトリーサイエンス戦略相談に係る費用
- GCP に基づく治験プロトコルの策定に係る費用
- 上記を実施する上で必要なコンサルテーションおよびドキュメンテーションに係る費用
- 再生医療等製品シーズの産業化に資する個別要素技術の製品化に向けた研究開発費用

対象外のもの（例）

探索的研究、臨床研究・治験の実施費用、上記の目的と関係しない設備機器の整備や人件費、など

●「設備」・「備品」・「消耗品」についての考え方

補助事業事務処理説明書 18・78ページ

設備（資産）

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

設備については通常「処分制限財産」にあたりますので、**譲渡や廃棄**を行おうとする際には予め事務処理説明書を確認し、事前にご相談ください。

● 提案書について

様式1_研究開発提案書（PDF形式の一つのファイルとして提出）

- ・研究開発提案書
- ・別紙 1 研究開発の主なスケジュール
- ・別紙 2 実施体制
- ・別紙 3 利益相反の管理・倫理面への配慮について
- ・別添 1 具体的な事業化計画（ロードマップ）
- ・別添 2 非臨床試験等の概要
- ・別添 3 要約（英語・日本語 **共に必須**）

別添資料（それぞれ別々のファイルとしてアップロード）

- ・治験製品概要書ドラフト **（課題1では必須）**
- ・治験プロトコルもしくはプロトコルの概要 **（課題1では必須）**
- ・PMDAの事前面談・対面助言の記録等
- ・知財戦略と標準化戦略 **（課題1及び課題2共に必須）**

ファイルサイズが10MB以上の場合、アップロード不可となります。（要連絡）

●別添 2 非臨床試験等の概要

AMEDのウェブサイトにて2018年6月8日に「再生医療研究事業の進捗管理における留意事項について」としてご案内しました「再生医療研究事業のマネジメントに関するチェック項目について」の運用のため、多能性幹細胞、体性幹細胞又は遺伝子改変細胞を用いた再生医療等の実用化にかかる研究開発課題を対象に、研究開発提案書の別添等の記載を依頼しています。

本チェック項目は、研究開発支援の成果を一層高めるとともに、研究費の効果的な配分・使用に資することを目的としており、記載頂いた内容は課題評価委員会での評価の対象になります。

● 治験製品概要書ドラフト（課題1では別添必須）

これまで得られた非臨床試験の結果や品質に関する情報を治験製品概要書に準拠した形式でまとめたものを別ファイルとして提出してください。また、未実施の項目や評価方法が未定の項目については、可能な限り今後の見通しについても記載してください。

● 治験プロトコールもしくはプロトコールの概要（課題1では別添必須）

現時点で予定している臨床試験のプロトコール案を提出して下さい。プロトコールがまとまっていない場合はプロトコールの概要（対象疾患、剤形、用法用量、群分け、盲検の有無、主な選択基準や除外基準など）を提出してください。

●公募対象（5．採択条件）

公37

課題1については、①～③の**全てを**、課題2については、①～④の**全てを**
満たす企業等であること

<課題1>

- ①再生医療等製品シーズの**製造販売承認取得に向けて、規制に対応した非臨床試験やGCTPに沿った製造工程の確立、安全性や有効性を担保するための品質・評価指標の開発、または総合的な開発戦略設計**が必要な民間企業（アカデミア発ベンチャー企業を含み、主にCROやCMO/CDMOとの委託契約または共同研究契約を結ぶ実施体制を想定）を研究開発代表機関とすること。
- ②再生医療等製品シーズの製造販売承認取得に向けた**事業化計画（ロードマップ）が明確**になっている研究計画であること。
- ③補助対象経費から補助額（補助対象経費に補助率を乗じたもの。補助率は3分の2。）を除いた額について、研究開発代表機関が負担すること。なお、補助事業の履行能力を確認するための資料等について、提出を求める場合があります。

＜課題2＞

- ①再生医療等製品シーズの産業化に資する個別要素技術の開発を進める民間企業（アカデミア発ベンチャー企業を含む）を研究開発代表機関とすること。
- ②開発する個別要素技術が、再生医療等製品シーズ開発企業のニーズを適切に反映させたものであり、それらの開発促進に寄与することが明確に説明できること（例：再生医療等製品の製造コストや品質管理コストの削減、安全性の向上等）。
- ③開発する個別要素技術の実用化に向けた事業化計画（ロードマップ）が明確になっている研究計画であること。
- ④補助対象経費から補助額（補助対象経費に補助率を乗じたもの。補助率は3分の2。）を除いた額について、研究開発代表機関が負担すること。なお、補助事業の履行能力を確認するための資料等について、提出を求める場合があります。

公募対象外の例

- ・ 大学や医療機関（大学等）を研究代表機関とする提案
- ・ 製造販売承認申請を想定していない開発シーズ（再生医療安全性確保法下における治療を出口とする開発など）
- ・ *In vivo*遺伝子治療（*ex vivo*遺伝子治療でヒト細胞を投与するものは対象となる）

● 評価項目と観点

公9

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
- ・基礎研究など探索的な提案を含まないか

② 科学的・技術的な意義及び優位性

- ・市場性が期待できる製品あるいは基盤技術となりうるか
- ・医療の進展に資するものであるか
- ・独創性、新規性、革新性を有しているか
- ・競合する技術やモダリティ、類似の開発と比較した際に、優位性があるか
- ・事業終了後数年程度で企業治験に入ることが期待できるか（課題1）
- ・事業終了後数年程度で個別要素技術が製品化することが期待できるか（課題2）
- ・再生医療等製品開発にかかるニーズを踏まえ、開発する個別要素技術が汎用的に利用されることが期待できるか（課題2）

● 評価項目と観点

公9

③計画の妥当性

- ・産業化に向けた重要課題を優先した内容であるか
- ・再生医療等製品あるいは要素技術の開発戦略が策定されており実用化への道筋が現実的か
- ・全体計画の目標設定を適切に設定し、年度ごとの計画が具体的になっているか
- ・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
- ・規制当局が求める研究開発計画となっているか

④実施体制

- ・薬事規制に精通した者が課題を把握し、適切にマネジメントできる環境が整っているか
- ・産業化に向けて代表機関だけでは不足する機能をCMO/CDMOやCRO等が補う体制が整っているか（課題1）
- ・非臨床安全性試験開始までに必要な準備が整っているか（課題1）
- ・再生医療等製品開発あるいは要素技術開発に関わる知的財産管理を適切に遂行できるか
- ・申請者等のエフォートは適当であるか

⑤所要経費

- ・経費の内訳、支出計画等は妥当であるか
- ・自己負担について支出が可能であるか

●公募スケジュール

公5～7

公募期間 2019年5月10日(金)～**2019年6月10日(金) 12:00**
(申請はe-Radによってのみ受け付けます)

書面審査 2019年6月中旬～2019年7月上旬 (予定)
ヒアリング **2019年7月22日(月) / 23日(火) ※**

(※) ヒアリング対象課題の研究開発代表者に対して、ヒアリング審査の**7日前まで**に提案書に記載の電子メールアドレスへ御連絡します。

採択可否の通知 2019年8月上旬頃 (予定)

交付決定/研究開始 2019年9月1日 (予定)

● 採択結果の通知・発表について

公7～9

- 採択結果は電子メールでの通知に加え、簡易書留にて文書を送付しますが、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、企業等のホームページに、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、補助金交付の準備をお願いします。AMEDホームページに各種書式がありますので、迅速な作成をお願いします。
- なお、審査状況等に関するお問い合わせにはお答えできません。

●研究開始日について

公7～9

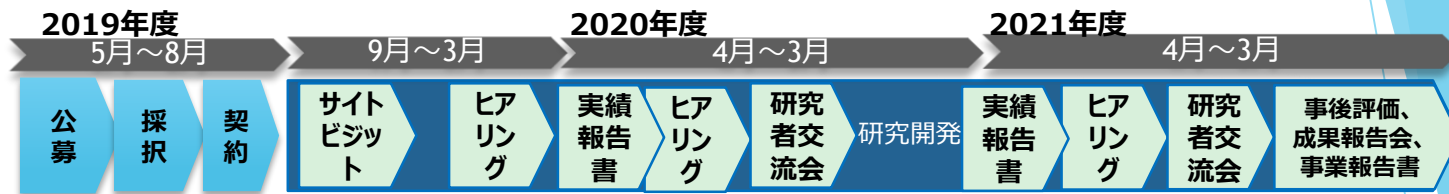
- 採択対象となった課題の研究開発代表者に対しては、**ヒアリング結果を踏まえた計画の修正を求めることや、採択条件を付することがあります。**これらの場合においては、計画の妥当性について、再度検討を行う可能性があることについてご承知おきください。
- **研究開発は、補助金交付決定通知書が発出されなければ開始できません。**2019年9月1日（予定）から研究開発を開始するには、機構内での確認のため**2週間以上前には必要書類が完成している必要があります（開始日を過去に遡って設定することはできません）。**予定の開始日に間に合わない場合、研究開発を開始できず影響も大きいことから、研究開発計画（研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。**

● データマネジメントプランについて

公25

- 採択課題については、研究開発代表者から、採択後の研究開発補助金交付決定の際にデータマネジメントプランをAMED に提出していただきます。（AMEDで平成30年5月以降公募を開始する課題には原則として適用されます）
- データマネジメントプランの提出は、公的資金により行われる研究開発課題でデータを整理・体系化（データベース化）する必要があるものについて、AMED が研究データの所在等を把握することにより、マネジメント機能又は触媒機能を強化し、可能な範囲で異なる研究開発課題間での連携促進や二重研究開発の回避等に役立てる等のため行うものです。

● 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**を適宜実施しながら、課題管理を行います。

本事業のPS：

中畑 龍俊（京都大学iPS細胞研究所 顧問）

本事業のPO：

白戸 崇（東北大学病院 臨床研究監理センター情報政策部門 部門長）

中西 淳（武田薬品工業株式会社 再生医療ユニットリサーチマネージャー）

● 課題管理について

- 課題については、AMED事務局の課題担当者と密接に連絡いただきながら進めていただきます。
- 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を積極的に利用していただくとともに、**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。

●プレスリリース・取材対応について

補助事業事務処理説明書 89・90ページ

- 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メディアで公表する際には、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。



質疑応答





本日は、ご出席いただきありがとうございました。

