

令和 5 年度 再生医療実用化研究事業 公募説明資料

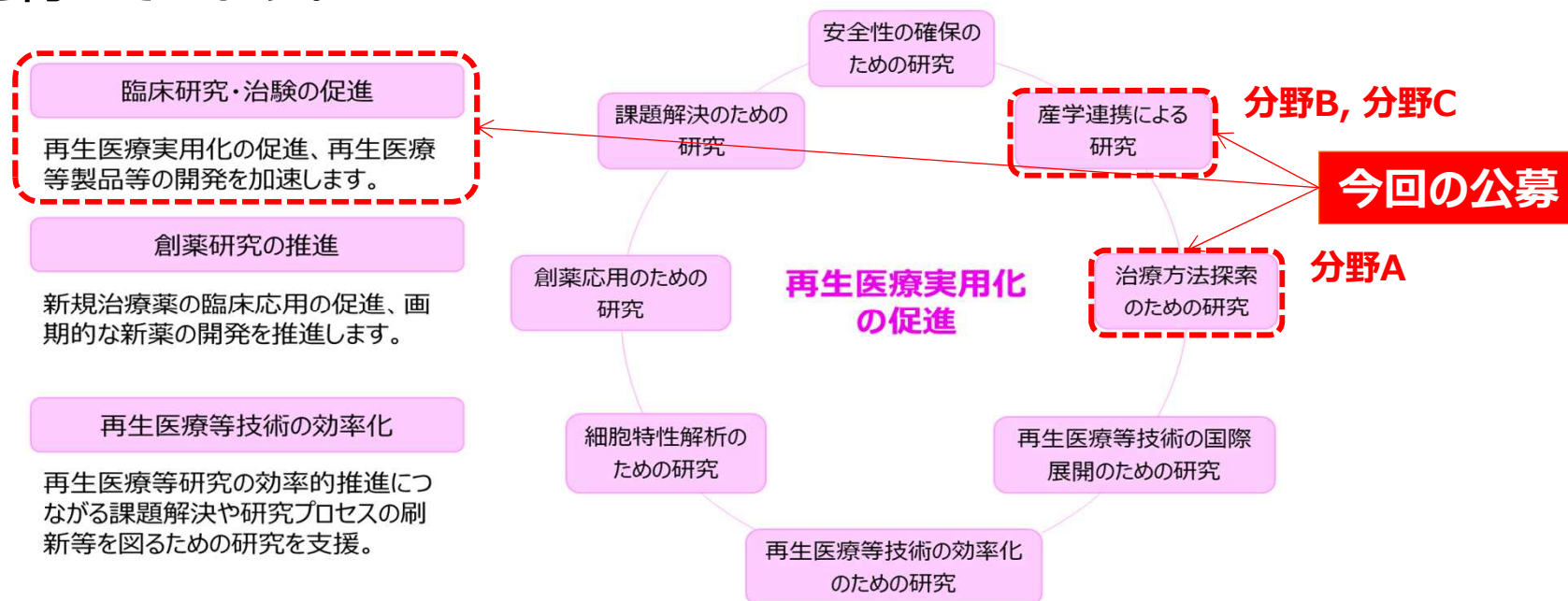
国立研究開発法人 日本医療研究開発機構（AMED）
再生・細胞医療・遺伝子治療事業部 再生医療研究開発課

本資料の内容

1. 再生医療実用化研究事業の概要
2. 令和5年度公募の概要
3. 昨年度からの変更点（注意点）
4. 公募課題の選択について
5. 令和5年度公募のスケジュール
6. 応募資格者
7. 応募に必要な提案書類
8. ヒト全ゲノムシーケンス解析プロトコル様式について
9. 提案書類の提出方法
10. お問い合わせ先

1. 再生医療実用化研究事業の概要

本事業では、再生医療の実用化を促進するため、平成27年より毎年度、「再生医療等安全性確保法（安確法）のもと臨床研究を実施する研究課題」、「医薬品医療機器等法（薬機法）のもと企業の協力を得ながら医師主導治験を実施する研究課題」、「再生医療等の品質及び安全性を担保する評価基準策定に向けた研究課題」等の公募を実施し、研究開発の支援を行っています。



2. 令和5年度公募の概要

令和5年度は、以下の3つの分野で合計6つの課題を公募します。

#	分野等	公募課題	研究開発費の規模 (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
A-1	革新的な再生医療・細胞治療法の探索及び実用化に係る研究分野	革新的な再生医療・細胞治療・ex vivo 遺伝子治療法の探索及び実用化に係る研究（臨床開始準備）	1 課題当たり年間 26,000千円 （上限）	最長 3 年 令和 5 年度～ 令和 7 年度	0～2課題 程度
A-2		革新的な再生医療・細胞治療・ex vivo 遺伝子治療法の探索及び実用化に係る研究（臨床研究）	1 課題当たり年間 36,000千円 （上限）	最長 3 年 令和 5 年度～ 令和 7 年度	0～2課題 程度
B-1	アカデミア発の再生医療等製品（細胞加工物等）を企業の協力を得て開発する研究分野	再生医療・細胞治療・ex vivo 遺伝子治療用製品の産学連携による開発研究（臨床開始準備）	1 課題当たり年間 30,000千円 （上限）	最長 3 年 令和 5 年度～ 令和 7 年度	0～1課題 程度
B-2		再生医療・細胞治療・ex vivo 遺伝子治療用製品の産学連携による開発研究（医師主導治験・臨床研究）	1 課題当たり年間 60,000千円 （上限）	最長 3 年 令和 5 年度～ 令和 7 年度	0～1課題 程度
C-1	アカデミア発の再生医療等製品（プラスミド、ウイルスベクター等）を企業の協力を得て開発する研究分野	In vivo 遺伝子治療用製品の産学連携による開発研究（臨床開始準備）	1 課題当たり年間 30,000千円 （上限）	最長 3 年 令和 5 年度～ 令和 7 年度	0～1課題 程度
C-2		In vivo 遺伝子治療用製品の産学連携による開発研究（医師主導治験）	1 課題当たり年間 60,000千円 （上限）	最長 3 年 令和 5 年度～ 令和 7 年度	0～1課題 程度

2. 令和5年度公募の概要

分野 A：革新的な再生医療・細胞治療法の探索及び実用化に係る研究分野

本公募の分野 A では、革新的な再生医療等技術を用い、有効な治療法がない疾患を対象とした新規治療法を探索あるいは実用化するための研究を支援します。

公募課題 A-1 革新的な再生医療・細胞治療・ex vivo 遺伝子治療法の探索及び実用化に係る研究（臨床開始準備）

- 再生医療等安全性確保法のもと臨床研究を開始するために必要な製造、品質及び非臨床安全性に関する研究
- 臨床研究計画書の設計に必要な非臨床研究（用法用量設定のための動物試験など）
- 疫学調査等（被験者選択基準設定のための調査など）

公募課題 A-2 革新的な再生医療・細胞治療・ex vivo 遺伝子治療法の探索及び実用化に係る研究（臨床研究）

- 再生医療等安全性確保法に従って実施する臨床研究

2. 令和5年度公募の概要

分野B: アカデミア発の再生医療等製品（細胞加工物等）を企業の協力を得て開発する研究分野

本公募の分野Bでは、アカデミア発の再生医療等製品シーズ（再生医療、細胞治療、ex vivo遺伝子治療）を、速やかに実用化に繋げていくため、アカデミアが企業の協力を得て、薬事承認・事業化を見据えた再生医療等製品（細胞加工物等）の開発を進める研究を支援します。

公募課題 B-1 再生医療・細胞治療・ex vivo 遺伝子治療用製品の産学連携による開発研究（臨床開始準備）

- 臨床試験（医師主導治験・臨床研究）を開始するために必要な製造、品質及び非臨床安全性に関する研究
- 臨床プロトコルの設計に必要な非臨床研究（用法用量設定のための動物試験など）
- 疫学調査等（被験者選択基準設定のための調査など）

公募課題 B-2 再生医療・細胞治療・ex vivo 遺伝子治療用製品の産学連携による開発研究（医師主導治験・臨床研究）

- 医薬品医療機器等法に従って実施する医師主導治験、または再生医療等安全性確保法に従って実施する臨床研究
- 付随する研究（次相以降において適切な対象患者を選定するためのバイオマーカー探索、製造・品質管理方法の改良など）

2. 令和5年度公募の概要

分野C: アカデミア発の再生医療等製品（プラスミド、ウイルスベクター等） を企業の協力を得て開発する研究分野

本公募の分野Cでは、アカデミア発の再生医療等製品シーズ（*in vivo*遺伝子治療）を、速やかに実用化に繋げていくため、アカデミアが企業の協力を得て、薬事承認・事業化を見据えた再生医療等製品（プラスミド、ウイルスベクター等）の開発を進める研究を支援します。

公募課題 C-1 *In vivo* 遺伝子治療用製品の産学連携による開発研究（臨床開始準備）

- 医師主導治験を開始するために必要な製造、品質及び非臨床安全性に関する研究
- 臨床プロトコルの設計に必要な非臨床研究（用法用量設定のための動物試験など）
- 疫学調査等（被験者選択基準設定のための調査など）

公募課題 C-2 *In vivo* 遺伝子治療用製品の産学連携による開発研究（医師主導治験）

- 医薬品医療機器等法に従って実施する医師主導治験
- 付随する研究（次相以降において適切な対象患者を選定するためのバイオマーカー探索、製造・品質管理方法の改良など）

3. 昨年度からの変更点（注意点）

- 1. 「臨床開始準備のための研究課題」が二次公募から一次公募に移動しました。**
- 2. 「産学連携による研究課題」の内容が変更しました。**

3. 昨年度からの変更点（注意点）

1. 「臨床開始準備のための研究課題」が二次公募から一次公募に移動

令和4年度公募（昨年度）

一次公募（令和3年12月3日公募〆切）

再生医療等安全性確保法に従って実施する再生医療・細胞治療の臨床研究

企業の協力を得ながらプロトコルを組む再生医療・細胞治療の医師主導治験

二次公募（令和4年5月11日公募〆切）

再生医療等安全性確保法に従って実施する再生医療・細胞治療の臨床研究開始のための研究

企業の協力を得ながらプロトコルを組む再生医療・細胞治療の医師主導治験開始のための研究

※ 公募課題名を変更しています。

令和5年度公募（今回）

一次公募（令和4年12月13日公募〆切）

A-1 革新的な再生医療・細胞治療・ex vivo遺伝子治療法の探索及び実用化に係る研究（臨床開始準備）

A-2 革新的な再生医療・細胞治療・ex vivo遺伝子治療法の探索及び実用化に係る研究（臨床研究）

B-1 再生医療・細胞治療・ex vivo遺伝子治療用製品の産学連携による開発研究（臨床開始準備）

B-2 再生医療・細胞治療・ex vivo遺伝子治療用製品の産学連携による開発研究（医師主導治験・臨床研究）

C-1 *In vivo*遺伝子治療用製品の産学連携による開発研究
New!（臨床開始準備）

C-2 *In vivo*遺伝子治療用製品の産学連携による開発研究
New!（医師主導治験）

令和5年度は、「臨床開始準備のための研究課題」の二次公募は予定されていません。ご注意ください。

3. 昨年度からの変更点（注意点）

2. 「産学連携による研究課題」の公募内容が変更

- ① *In vivo* 遺伝子治療（プラスミド、ウイルスベクター等）が公募対象に加わりました。
- ② 研究開発代表者と研究開発項目を分担・実施する企業（分担企業）が参加することが要件となりました。分担企業には、研究開発費を配分できます。
- ③ 医師主導治験に加えて、臨床研究が公募対象になりました。

※ 詳細は公募要領をご覧ください。

産学連携による研究課題

分野B: アカデミア発の再生医療等製品（細胞加工物等）を企業の協力を得て開発する研究分野

課題B-1: 再生医療・細胞治療・*ex vivo* 遺伝子治療用製品の産学連携による開発研究（臨床開始準備）

課題B-2: 再生医療・細胞治療・*ex vivo* 遺伝子治療用製品の産学連携による開発研究（医師主導治験・臨床研究）

分野C: アカデミア発の再生医療等製品（プラスミド、ウイルスベクター等）を企業の協力を得て開発する研究分野

課題C-1: *In vivo* 遺伝子治療用製品の産学連携による開発研究（臨床開始準備）

課題C-2: *In vivo* 遺伝子治療用製品の産学連携による開発研究（医師主導治験）

3. 昨年度からの変更点（注意点）

In vivo 遺伝子治療（プラスミド、ウイルスベクター等）について

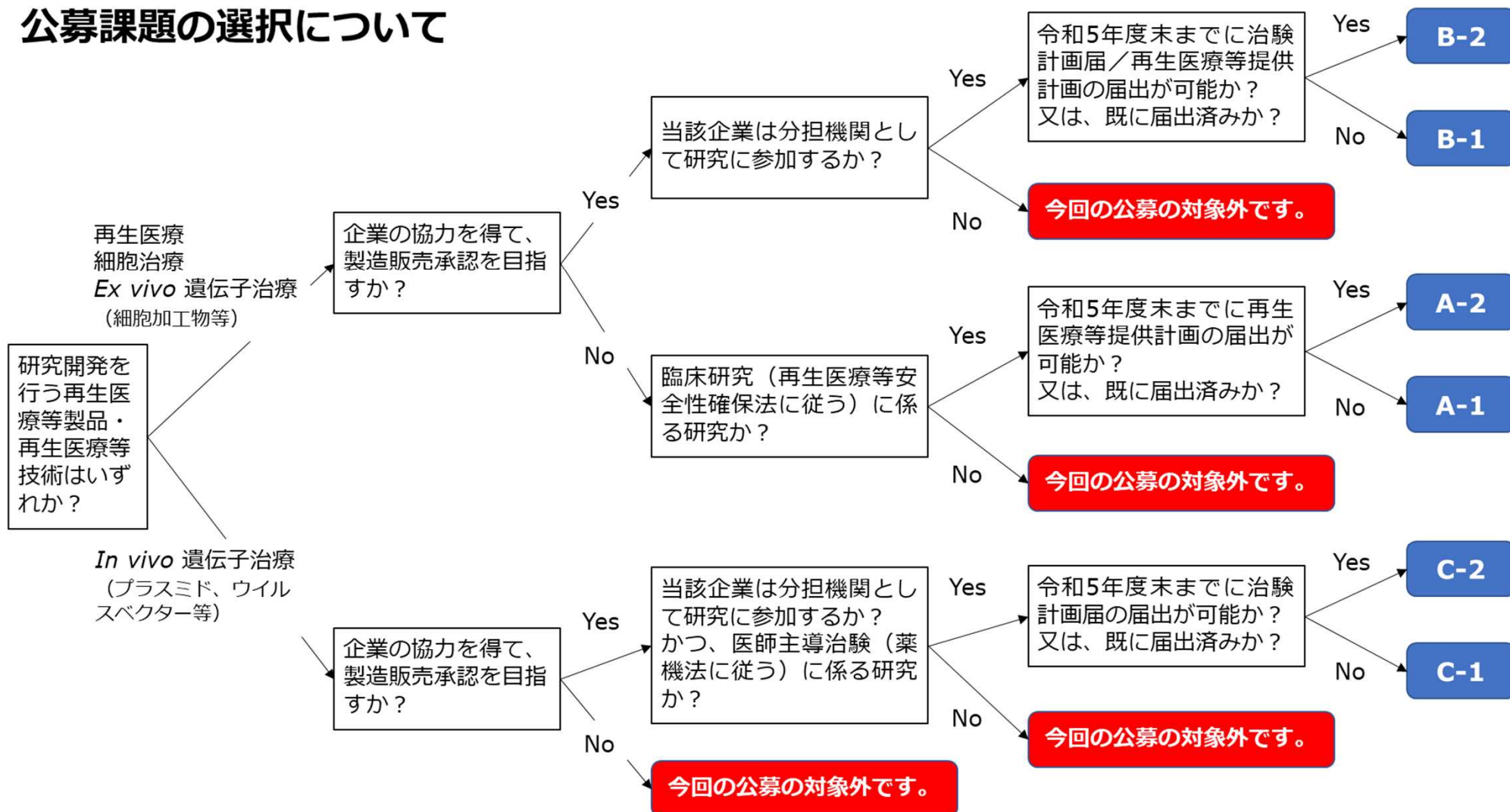
- 本事業では、支援対象として、従来の再生医療・細胞治療・*ex vivo* 遺伝子治療（細胞加工物等）に加えて、*in vivo* 遺伝子治療（プラスミド、ウイルスベクター等）についても広げていく方針です。
- 本公募では、まず、「アカデミア発の再生医療等製品（プラスミド、ウイルスベクター等）を企業の協力を得て開発する研究分野」において、医薬品医療機器等法（薬機法）のもと医師主導治験を実施する、あるいは治験の準備を行う研究課題について、公募を行い、研究開発を支援します。
- 「革新的な再生医療・細胞治療法の探索及び実用化に係る研究分野」における *in vivo* 遺伝子治療の公募については、再生医療等安全性確保法の法改正に併せて、今後検討を進めていきます。

4. 公募課題の選択について

	治療法探索のための研究 革新的な再生医療・細胞治療法の探索及び 実用化に係る研究分野	産学連携による研究 アカデミア発の再生医療等製品を企業の協力を 得て開発する研究分野
臨床開始の準備 (品質・安全性など)	A-1 革新的な再生医療・細胞治療・ex vivo遺 伝子治療法の探索及び実用化に係る研究 (臨床開始準備)	B-1 再生医療・細胞治療・ex vivo遺伝子治療 用製品の産学連携による開発研究（臨床 開始準備） C-1 In vivo遺伝子治療用製品の産学連携によ る開発研究（臨床開始準備）
臨床研究・ 医師主導治験	A-2 革新的な再生医療・細胞治療・ex vivo遺 伝子治療法の探索 及び実用化に係る研究 (臨床研究)	B-2 再生医療・細胞治療・ex vivo遺伝子治療 用製品の産学連携による開発研究（医師 主導治験・臨床研究） C-2 In vivo遺伝子治療用製品の産学連携によ る開発研究（医師主導治験）

4. 公募課題の選択について

公募課題の選択について



5. 令和5年度公募のスケジュール

	公募期間	令和4年11月1日（火）～ 令和4年12月13日（火） 正午12:00（厳守）
	書面審査	令和4年12月下旬 ～ 令和5年1月中旬（予定）
	ヒアリング審査	令和5年2月下旬 ～ 3月上旬（予定）
	採択可否の通知	令和5年4月中旬（予定）
	研究開発開始 （契約締結）	令和5年5月下旬（予定）

6. 応募資格者

以下に掲げる国内の研究機関等に所属し、かつ、主たる研究場所とし、応募に係る研究開発課題について、研究開発実施計画の策定や成果の取りまとめなどの責任を担う研究者（研究開発代表者）。

- (A) 国の施設等機関（研究開発代表者が教育職、研究職、医療職、福祉職、指定職又は任期付研究員である場合に限る。）
- (B) 公設試験研究機関
- (C) 学校教育法に基づく大学及び同附属試験研究機関等（大学共同利用機関法人も含む。）
- (D) 研究を主な事業目的としている一般社団法人、一般財団法人、公益社団法人及び公益財団法人
- (E) 研究を主な事業目的とする独立行政法人及び地方独立行政法人
- (F) 非営利共益法人技術研究組合

本公募では「民間企業の研究開発部門、研究所等」が代表機関として応募することはできませんのでご注意ください。

7. 応募に必要な提案書類

(1) 全公募研究開発課題で共通して必要な提案書類

No.	必須/任意	必要な提案書類	備考
1	必須	(様式1) 研究開発提案書	別紙を含めて記載漏れがないように注意してください。
2	必須	(別紙1) 要約 (和文・英文)	
3	必須	(別紙2) 研究開発の主なスケジュール	
4	必須	(別紙3) 実施体制図	
5	必須	(別紙4) 利益相反の管理及び法令・倫理指針等の遵守について	
6	必須	(別紙5) 実用化に向けたロードマップ	
7	該当する場合は必須	(別添1) ヒト全ゲノムシーケンス解析プロトコール様式	ヒト全ゲノムシーケンス解析を実施する場合
8	必須	(別添2) 直接経費の内訳	

(注1) 別紙1～別紙5は、(様式1) 研究開発提案書に雛形が付いていますので、注意事項に従って記載してください。

(注2) 提出書類に不備がある場合は、不受理となる場合があります。

(注3) ヒト全ゲノムシーケンス解析を実施する場合で、(別添1) ヒト全ゲノムシーケンス解析プロトコール様式の提出がない場合は、不受理とします。

7. 応募に必要な提案書類

(2) 公募課題ごとに必要な提案書類

No.	必要な 提案書類	公募課題						備考
		A-1	A-2	B-1	B-2	C-1	C-2	
9	(別紙6) アカデミア発・再生医療等製品 シーズの特許状況	-	-	必須	必須	必須	必須	
10	(別紙7) 非臨床PoCの概要	必須	必須	必須	必須	必須	必須	
11	(別紙8) 製造法の確立状況	必須	-	必須	-	必須	-	製造法は実験室レベルで可
12	(別紙9) 臨床研究・医師主導治験を実 施するにあたり必要な品質・非臨床安全 性データの取得状況	-	必須	-	必須	-	必須	
13	(別紙10) 臨床研究・医師主導治験の 実施状況	-	該当する 場合	-	該当する 場合	-	該当する 場合	提案時点で臨床研究・医師 主導治験を実施している場合
14	(別紙11) カルタヘナ法への対応状況	-	-	-	-	該当する 場合	該当する 場合	遺伝子組換え生物等 を用い る場合
15	臨床研究計画書 (PDF)	-	必須	-	どちらか 必須	-	-	(案) でも可
16	治験実施計画書 (PDF)	-	-	-		-	必須	(案) でも可
17	PMDA対面助言記録 (PDF)	-	-	該当する 場合	該当する 場合	該当する 場合	該当する 場合	これまでにPMDA対面助言を 実施している場合

(注 1) 別紙6～別紙11は、(様式 1) 研究開発提案書に雛形が付いていますので、
注意事項に従って記載してください。

(注 2) 提出書類に不備がある場合は、不受理となる場合があります。

8. ヒト全ゲノムシーケンス解析プロトコール様式について

公募要領 第2章 2.2.6

研究開発計画においてヒトの全ゲノムシーケンス解析（注1）を実施するにあたっては、その解析に用いるプロトコール情報の提出を必須とします。

（注1）全ゲノムシーケンス解析

- ここでは、次世代シーケンサーを利用した全ゲノムシーケンス解析及び全エクソーム解析を指します。
- 次世代シーケンサーを用いる解析のうち、全ゲノムまたは全エクソーム以外を対象とするゲノム解析や、アレイ解析、サンガー法によるシーケンス解析は含みません。
- 生体試料からVCFデータを得るまでのプロセスを指します。

公募要領 第2章 2.2.6（つづき）

ヒト全ゲノムシーケンス解析のプロトコールについては、特に下記の項目について明記することが求められます。

- ライブラリー作成（キット名、断片長等）
- シーケンス反応（キット名、リード長等）
- 解析装置の機種名（機種名・型番等。外注の場合は外注先も記入）
- クオリティコントロール（QC）の方法
- リファレンスゲノムとのマッピング及びアセンブルの方法

※ ヒト全ゲノムシーケンス解析を実施する場合で、ヒト全ゲノムシーケンス解析プロトコール様式の提出がない場合は、不受理とします。

※ ヒト全ゲノムシーケンス解析プロトコールが、第2章に記載している条件を満たさない提案は審査対象外となります。

※ 詳細については、必ず公募要領を確認してください。

8. ヒト全ゲノムシーケンス解析プロトコール様式について

- AMEDは、政府の方針に基づき、様々なAMED研究課題で得られたヒト全ゲノムシーケンスデータを取りまとめて大規模なデータセットをつくり、研究開発に提供する基盤「AMEDデータ利活用プラットフォーム」の整備を進めています。
- 全ゲノムシーケンスデータの大規模解析には、個別のデータの解析プロトコールが揃っていることが、解析結果の精度に直接影響します。そのため、AMEDは、国費を投じて得られたデータを利活用した研究開発において精度の高い解析が可能となるよう、このプラットフォームが窓口となり共有されるヒトの全ゲノムシーケンスデータには、政府の方針※に基づき以下の2点を求めています。

① 既にプラットフォームで共有予定となっているデータと品質を同等に担保すること

② ゲノム解析の先進諸国との国際共同研究でも円滑に活用可能であること

※厚生労働省 第2回「全ゲノム解析等実行計画」の推進に向けた検討会議（令和3年2月16日、資料1）
内閣官房健康・医療推進戦略本部 第8回ゲノム医療協議会（令和4年3月30日、資料3、参考資料3）

- 既にこのプラットフォームで共有予定となっているヒト全ゲノムシーケンスデータとは、現時点では、内閣官房健康・医療推進戦略本部の第5回ゲノム医療協議会（令和3年3月16日）参考資料3で示されたデータのことです。
- ゲノム解析の先進諸国との国際共同研究とは、現時点では、英国のUK BiobankおよびGenomics Englandや、米国のAll Of Usなどの海外の大規模ゲノムデータリソースを用い、ゲノム医療研究で先行する欧米の研究機関と共同して実施するような研究を想定しています。

8. ヒト全ゲノムシーケンス解析プロトコール様式について

- AMEDは、この目的を達成するため、全ゲノムシーケンスの解析プロトコールが公募要領の「2.2.6 データシェアリングについて」に記載されている以下の**5つの要件**を満たしているか確認しています。

- ライブラリー作成（キット名、断片長等）
- シーケンス反応（キット名、リード長等）
- 解析装置の機種名（機種名・型番等。外注の場合は外注先も記入）
- クオリティーコントロール（QC）の方法
- リファレンスゲノムとのマッピング及びアセンブルの方法

※ 全ゲノムシーケンス解析

次世代シーケンサーを利用した全ゲノムシーケンス解析及び全エクソーム解析を指します。なお、次世代シーケンサーを用いる解析のうち、全ゲノムまたは全エクソーム以外を対象とするゲノム解析や、アレイ解析、サンガー法によるシーケンス解析は含みません。

- ヒト全ゲノムシーケンス解析を実施する研究課題は、所定の様式※ を提出することにより、解析プロトコールの各項目を示す必要があります。**様式が提出されていない場合には応募申請は「不受理」となり、審査の対象となりません**ので、提案課題におけるヒト全ゲノムシーケンス解析の実施の有無については十分に注意してご判断ください。

※ ヒト全ゲノムシーケンス解析プロトコール様式

9. 提案書類の提出方法

- 提案書類は、受付期間内にe-Radにて提出してください。
- 公募課題 A-1～C-2 は、e-Radシステム上では別公募として、応募入り口は別々に設定されています。お間違いのないようご注意ください。
- 提出書類受付の締め切り直前は、アクセス集中のため不具合が発生する場合があります。期限に余裕を持って提出してください。
- 受付期間内に提出が完了していない場合は応募を受理しません。

提案書類の受付締め切り

令和4年12月13日（火） 正午12:00（厳守）

10. お問い合わせ先

**本事業の公募内容に関するご質問は、
以下のメールアドレスまでお願いします。**

E-mail: saisei3"AT"amed.go.jp

アドレス"AT"の部分を@に変えてください

*メール以外でのお問い合わせはご遠慮ください。