



令和4年度 再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム (再生・細胞医療・遺伝子治療研究実用化支援課題 (ウイルスベクター製造・提供基盤整備課題)) 公募説明資料

令和4年12月26日

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

再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム事務局

- 事業説明
- 公募要領抜粋
- Q&A

再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム

背景・課題 / 令和5年度概算要求のポイント

(事業期間：令和5年度～令和9年度)

- 「経済財政運営と改革の基本方針2022」では再生・細胞医療・遺伝子治療分野は国益に直結する分野と明示されており、「新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画」でも、次世代iPS細胞やオルガノイド等の革新的な研究開発を進めると共に、実用化に向けて、再生・細胞医療と遺伝子治療の垣根を取り払い一体的な研究開発を推進することが掲げられている。
- 再生・細胞医療・遺伝子治療の融合研究の推進、若手研究者の育成促進と裾野の拡大、異分野・他機関との連携と人材育成機能を包括したチーム型研究の推進、リバーストランスレショナルリサーチの実施、中核拠点をハブとした連携・相乗効果の創出、開発早期から出口を見据えた研究開発と戦略的伴走支援の充実、疾患特異的iPS細胞を用いた病態解明や創薬研究の推進を行う。

① 再生・細胞医療・遺伝子治療研究開発課題 (基礎応用・非臨床/個別型・チーム型)

- ・ 再生・細胞医療・遺伝子治療分野の融合研究を推進
- ・ 革新的な創薬・治療法の実用化を見据えた基礎・応用研究の実施
- ・ 治療法の臨床試験に直結する非臨床PoC取得研究の実施
- ・ リバーストランスレショナルリサーチの実施
- ・ 異分野研究者・企業等との総合力を生かしたチーム型研究を推進

② 再生・細胞医療・遺伝子治療研究中核拠点

- ・ 次世代iPS細胞の開発、リプログラミングの解明、革新的なゲノム編集技術開発等の再生・細胞医療・遺伝子治療分野の共通基盤研究の実施

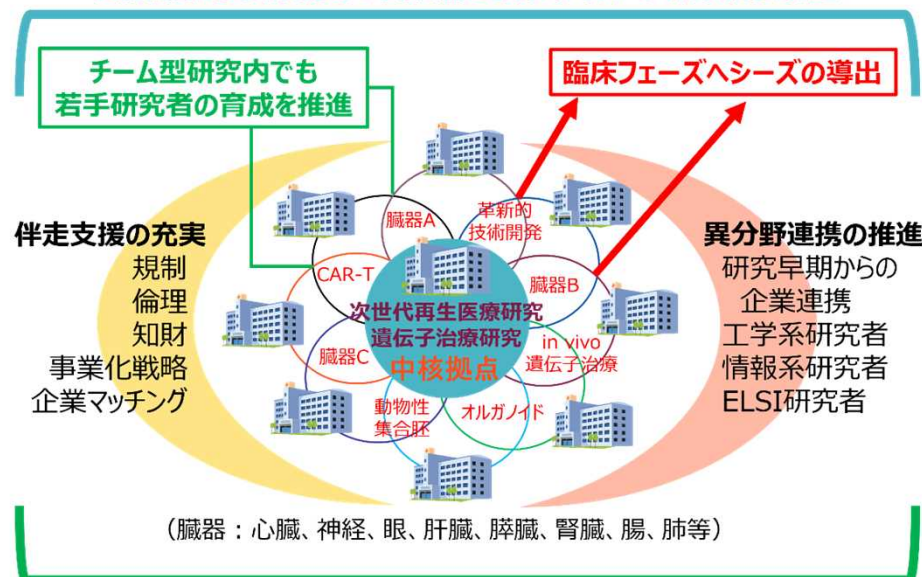
③ 疾患特異的iPS細胞を用いた病態解明・創薬研究課題

- ・ 難病等の患者由来の疾患特異的iPS細胞等を活用した疾患発症機構の解明、病態解析技術の高度化、創薬研究の推進
- ・ 疾患付随情報が充実した疾患特異的iPS細胞バンクの整備と利活用促進

④ 再生・細胞医療・遺伝子治療研究実用化支援課題

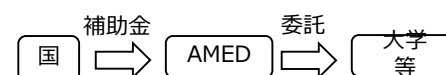
- ・ 実用化に向けた問題解決・回避のための伴走・マッチング支援の充実化
- ・ 規制・倫理・知的財産面（特許取得、パテントマップ）の伴走支援
- ・ 研究早期からの事業化戦略作成支援
- ・ 細胞・ベクター（細胞へ遺伝子を導入する媒体）の製造基盤整備

中核拠点をハブとした各研究機関、異分野研究者、産業界、医療機関、支援機関による研究分野・対象臓器ごとの多彩なバーチャルラボ化の推進



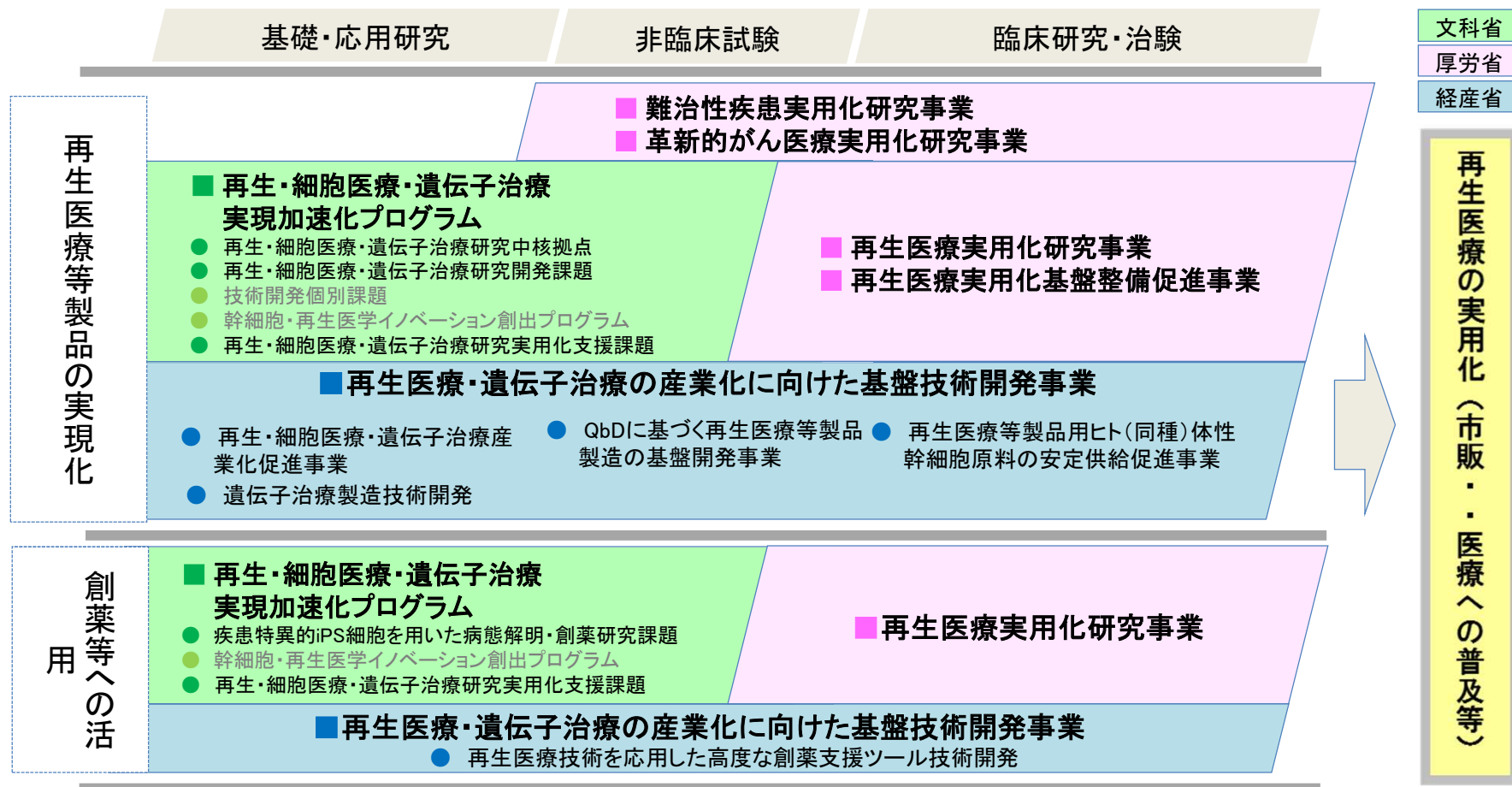
本分野全体として若手研究者の人材育成を積極的に推進

【事業スキーム】

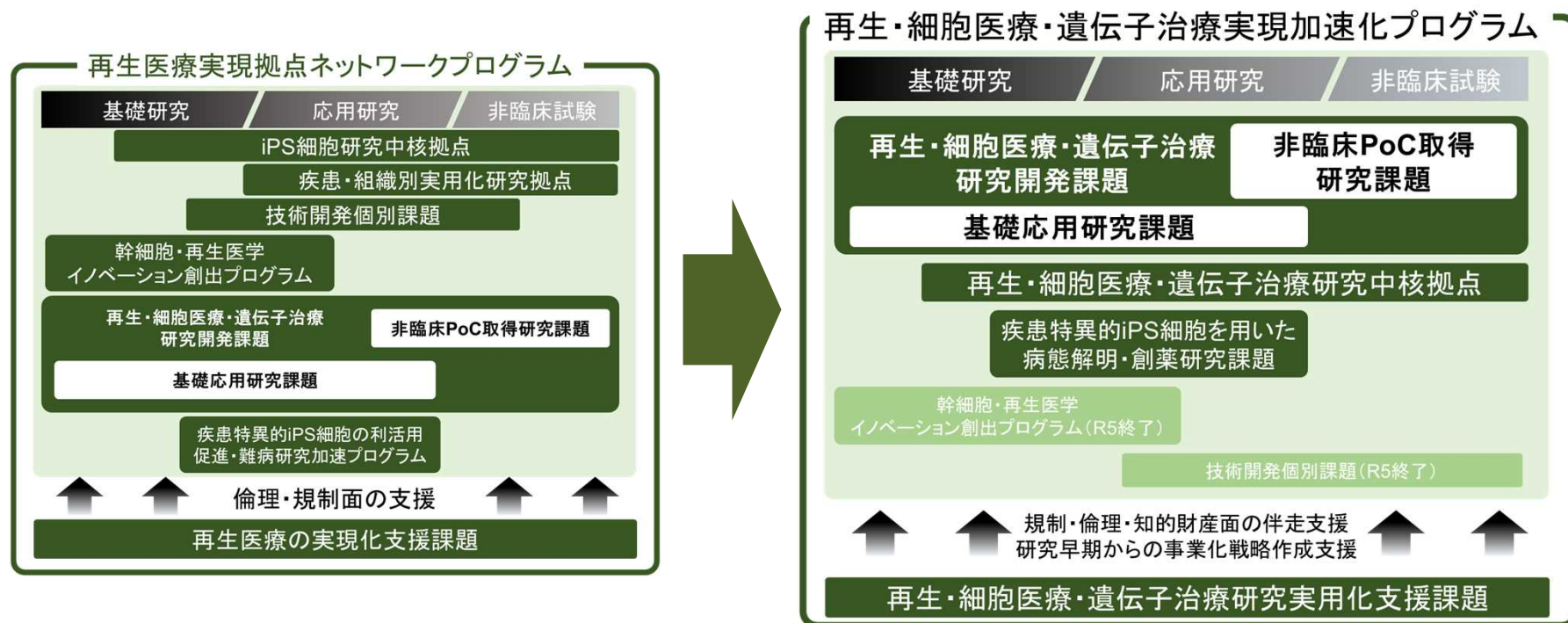


再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト 事業概要

基礎から臨床段階まで切れ目なく一貫した支援を行うとともに、再生医療関連事業のための基盤整備ならびに、iPS細胞等の創薬支援ツールとしての活用に向けた支援を進め、新薬開発の効率性の向上を図る。



再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム 事業概要

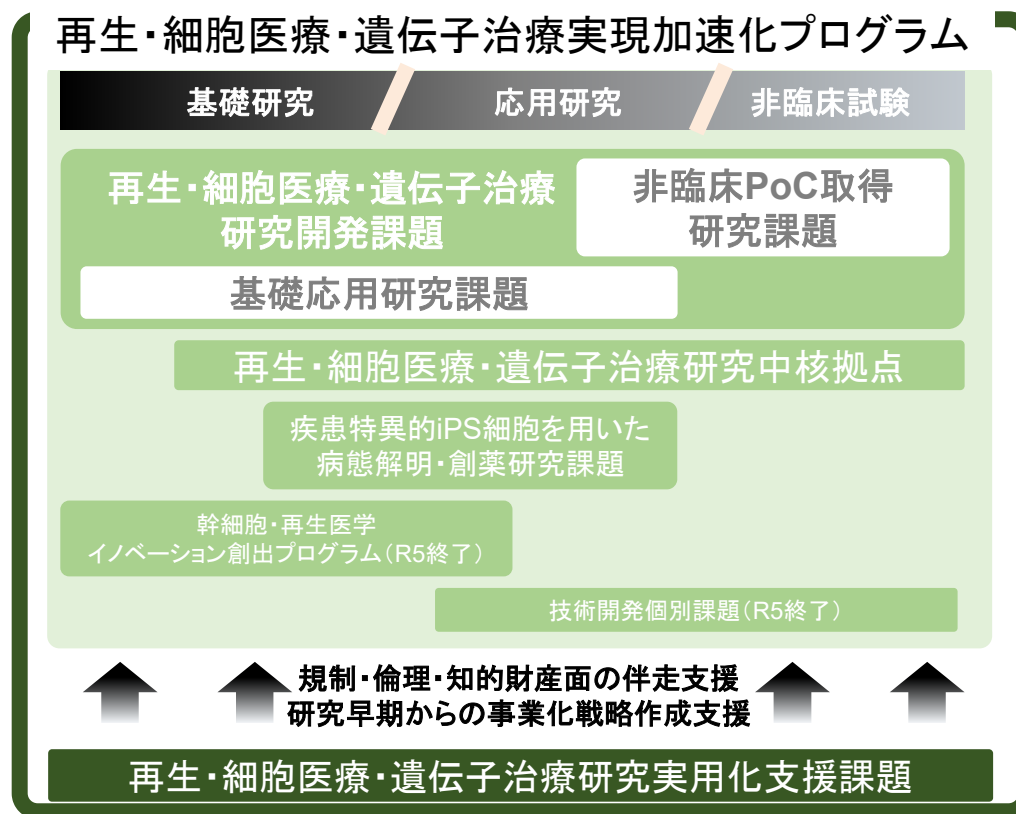


【現行：平成29年度～令和4年度】

【本公募：令和5年度】

「再生医療実現拠点ネットワークプログラム」の後継事業として令和5年度から開始する「再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム」では、「再生・細胞医療・遺伝子治療研究の在り方について（令和4年5月27日再生・細胞医療・遺伝子治療研究の在り方に係る検討会決定）」、「再生・細胞医療・遺伝子治療分野の今後の取組について（令和4年5月31日再生・細胞医療・遺伝子治療開発協議会決定）」等を踏まえ、再生・細胞医療・遺伝子治療の実用化、アンメットメディカルニーズへの対応及び我が国の本分野における国際競争力の維持・向上等に向けて、次世代医療につながる画期的なシーズの創出や臨床応用・企業への導出促進、「再生・細胞医療」および「遺伝子治療」の更なる融合研究の推進、本分野の研究開発及び基盤整備の推進並びに実用化に向けた支援を行うとともに、疾患発症機構の解明、創薬研究等を実施します。

再生・細胞医療・遺伝子治療研究実用化支援課題 概要



「研究成果を実用化につなげるためには、生命倫理や個人情報保護等について社会の合意を得ること、様々な規制基準を満たすこと、適切な知的財産権を取得していくことが必要であるため、本事業では全体として、研究早期から将来的な実用化を見据えた研究開発を推進するとともに、知的財産面を含む事業化戦略等の支援体制を構築します。

規制面・倫理面・知的財産面からの伴走支援、研究早期からの事業化戦略作成支援、細胞・ベクターの製造整備及びアカデミア等と研究に要する細胞・ベクターを製造する施設とのマッチング支援を実施し、実用化を見据えた切れ目のない支援を行います。

ウイルスベクター製造・提供基盤整備課題 趣旨



「再生・細胞医療・遺伝子治療研究実用化支援課題」は、規制面・倫理面・知的財産面からの伴走支援、研究早期からの事業化戦略作成支援、ウイルスベクターの製造・提供の基盤整備及びアカデミア等と細胞・ウイルスベクター製造機関とのマッチング支援を実施し、実用化を見据えた切れ目のない支援を行います。

このうち、「ウイルスベクター製造・提供基盤整備課題」（以下「本公募」）では、アカデミア等に向け少量・多品種のウイルスベクター製造施設の整備と運営等を行う研究開発及び環境整備を支援します。

再生・細胞医療・遺伝子治療研究の実用化の促進に向けて、非臨床研究・臨床研究や第I相臨床試験等のために必要なGMP基準を見据えた高い品質を有する少量・多品種のウイルスベクターについて、アカデミアの研究規模を踏まえた費用で速やかに製造できる製造設備を整備するとともに、当該製造設備を活用して、再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラムにおける研究開発に必要な非臨床研究用GMP準拠ウイルスベクターの製造・提供を支援することを目標とします。

研究開発費の規模・研究開発期間・採択課題予定数 (公募要領 3.1)



#	分野等、公募研究開発課題	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
1	再生・細胞医療・遺伝子治療研究実用化支援課題 (ウイルスベクター製造・提供基盤整備課題)	1 課題当たり 令和4年度：年間 1,326,600千円 (上限) ※1 令和5～9年度：年間 100,000千円 (上限) ※2	令和5年3月 (予定) ～ 令和9年度末	0～1課題

※1 令和4年度事業は、体制整備に必要となる大型設備等物品費のみ計上してください。

※2 令和5～9年度事業は、施設の運営に必要な経費、及び研究開発に必要な経費（設備・備品費を除く。）を計上してください。

- (注 1) 研究開発費の規模等は、申請額がそのまま認められることを確約するものではありません。
- (注 2) 研究開発費の規模及び新規採択課題予定数等は、公募開始後の予算成立の状況等により変動することがあります。大きな変動があった場合には、全部又は一部の公募研究開発課題について提案書類の受付や課題の採択を取りやめる可能性があります。
- (注 3) 複数の公募研究開発課題への応募は認められますが、研究費の不合理な重複及び過度の集中（詳細は第 5 章を参照してください。）に該当しないことを確認するため、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。また、応募中の研究開発課題が採択された場合は、速やかにAMEDの本事業担当課に報告してください。
- (注 4) 研究開始 3 年度目（予定）に実施する中間評価において、研究開発進捗を基にした事業終了後の具体的な計画（「ウイルスベクター製造・提供基盤整備課題」で取り組むウイルスベクターの製造・提供を研究開発実施期間終了後に当事業の支援なく運営するための詳細計画や研究開発体制の再構築を含む）を示していただきます。
- (注 5) 研究開発進捗状況等によっては、研究開発の中断や研究開発費が変動することがあります。

応募対象

（１） 機関・研究者

本公募の対象は大学等及び企業等（公募要領2.1及び8.3.1を参照ください）とします。

（２） 研究内容（研究開発環境整備に係る内容を含む。以下この章において同じ。）

以下のA)～D)に記載の研究内容を実施することが求められます。

- A) シーズ毎に実用化を念頭にしたウイルスベクター製造工程開発（製造・品質管理技術開発及び重要な工程指標の最適化に基づくウイルスベクター製造工程の開発）とそれを踏まえたGMP準拠のウイルスベクター製造を行い、アカデミアの研究規模を踏まえた費用で少量・多品種で高品質の非臨床研究等用GMP準拠ウイルスベクターを速やかに提供可能とするため、必要な基盤整備をする。
- B) 上記で整備した設備において、アカデミア等から依頼のあった非臨床研究等用GMP準拠ウイルスベクターの製造・提供を行う。ただし、稼働率、設備の適応等の状況から適切に当該製造・提供対象を決定する。
- C) Quality by Design（QbD）の概念に基づき、生産量のスケールアップ、スケールダウンが可能となる技術を構築し、実行する。
- D) 上記課題の遂行において、ウイルスベクターの製造・品質管理に係る人材を育成する。

ウイルスベクター製造・提供基盤整備課題

－補足説明（公募要領 3.2.4）



補足説明

1. 最終目標までのロードマップが明確な研究であることが求められます。
2. 目標を明確にするため、当該研究により期待される科学的成果及び当該成果によりもたらされる学術的・社会的・経済的メリットを研究開発提案書へ具体的に記載してください。
3. 研究開発提案書の作成にあたり、以下の点も留意してください。
 - ・ 事業趣旨及び公募課題の目的を理解し、研究の目的、特色・独創性、目標達成の可能性、期待される成果等を含む研究概要を具体的かつ簡潔に記載すること。
 - ・ 研究全体の目標を達成するためのロードマップを作成し、研究（開発）項目ごとの達成しようとする研究目標の節目となる到達点・達成事項及び研究（開発）項目間の関連性を簡潔に記載すること。
 - ・ 事業終了後の将来構想（本公募で取り組むウイルスベクターの製造・提供を研究開発期間終了後に当事業の支援なく運営するための計画の概要を含む。）について、想定する波及効果やインパクト等を記載すること。
 - ・ 体制図として、研究開発代表者、研究開発分担者、協力企業、主な外部委託先等について、役割と相互連携関係を明示すること。
 - ・ 製造施設の配置図面及び整備が必要な設備機器一覧について、計画書に記載すること。
4. 「研究への患者・市民参画」※（PPI）が適切に組み込まれた研究であること。組み込む必要はないと判断した場合は、その理由が研究開発提案書内で説明されていること。

※ <https://www.amed.go.jp/content/000055212.pdf>

ウイルスベクター製造・提供基盤整備課題

ー補足説明つづき（公募要領 3.2.4）



補足説明

5. 応募対象についてご心配な場合は、第14章をご参照いただき、本事業担当課へお問い合わせください
6. アカデミア等のシーズについて、企業・製薬業界団体、再生医療業界団体等への導出に向けた道筋を構築することが必須条件である。
7. 工学系研究者や企業のウイルスベクターの製造部門経験者等の製品製造・品質管理の専門家と医学系研究者が参画して、QbDに基づいた研究開発、アカデミアの研究規模を踏まえた費用で少量・多品種の製造品質評価技術を構築し、FDA等の海外展開が可能な製造方法を用いることで企業導出が可能な製造を速やかに実施すること。
8. 提案時において、FDA等の世界基準も見据えた製造設備の設計が完了し、人材確保の目途が立っていること。
9. ウイルスベクターの製造・品質管理技術に関する人材育成の機能を有すること。
10. AMED再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラムにおける別の研究開発課題の研究で必要な非臨床研究用GMP準拠ウイルスベクター製造支援が可能であり、当該別の研究開発課題の研究開発の早期の段階から当該製造支援が可能であること。ただし、稼働率、設備の適応等の状況から適切に当該製造・提供対象を決定すること。
11. 本事業で整備を行うウイルスベクター製造設備について、当該整備が完了するまでの間も、既所有施設等でのQbDの概念に基づいた製造法の研究開発を進めること。
12. 「再生・細胞医療・遺伝子治療研究実用化支援課題」における他の課題との連携・協力及び厚生労働省事業の遺伝子治療実用化基盤整備促進事業との連携・協力をした事業実施体制を構築すること。

審査の観点（公募要領 4.2.2）



（A）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

（B）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（アカデミアの研究資金で製造できるコスト構造、導出先企業で利用できる技術を含む）
- 国際競争力の高い優れた製造技術の構築が期待できるか
- 医療分野の進展に資するものであるか
- 新技術の創出に資するものであるか
- 社会的ニーズに対応するものであるか
- 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

（C）計画の妥当性

- 全体計画の内容と目的は明確であるか（事業終了後の将来構想は現実的であるか）
- 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

（D）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（実用化を見据えた十分な品質評価・管理が実施できる技術・専門家を含む）
- 製造の受託、導出を進めるための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／過度の集中はないか
- 製造・品質評価の人材を育成する体制であるか

（E）所要経費

- 経費の内訳、支出計画等は妥当であるか

データシェアリングについて（公募要領 2.2.6）



- 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と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）

データシェアリングについて（公募要領 2.2.6）



- AMEDは、この目的を達成するため、全ゲノムシーケンス解析※の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

ウイルスベクター製造・提供基盤整備課題

－提出書類（公募要領 5.1.1）



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	
2	必須	（別添）経費内訳（支援課題）	
3	該当する場合は必須	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

ウイルスベクター製造・提供基盤整備課題 ー公募期間と選考スケジュール（公募要領 4.1）



公募期間・選考スケジュール

提案書類受付期間	令和4年12月26日（月）～令和5年1月16日（月）【正午】 （厳守）
書面審査	令和5年1月中旬～令和5年1月下旬（予定）
ヒアリング審査	令和5年2月1日（水）もしくは令和5年2月6日（月） （予定）
採択可否の通知	令和5年2月上旬～令和5年2月中旬（予定）
研究開発開始 （契約締結等） 日	令和5年3月上旬（予定）

※ ヒアリング審査の対象となった課題は、研究開発代表者に原則として1週間前までにご連絡します。
なお、web会議によるヒアリングといたします。

【質問】

今後、他の再生・細胞医療・遺伝子治療研究実用化支援課題が公募された場合、本公募を含めた複数の課題に応募することは可能でしょうか。

【回答】

可能です。

【質問】

過去に再生医療実現拠点ネットワークプログラムに採択され、今回も関連する研究内容で応募したいのですが、可能でしょうか。

【回答】

『再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム』で支援を受ける予定の研究開発代表者及び研究開発分担者においては、支援中の課題とは異なる研究シーズかつ異なる対象疾患の研究開発提案である必要がありますが、過去に『再生医療実現拠点ネットワークプログラム』で採択され、既に研究開発期間が終わっている場合は、関連する研究内容での応募も可能です。



お問い合わせ先

AMED再生・細胞医療・遺伝子治療事業部
再生医療研究開発課

E-mail: [saisei-shien"AT"amed.go.jp](mailto:saisei-shien)

※E-mailは上記アドレス“AT”の部分を@に変えてください。