



令和5年度 再生医療実現加速化プログラム (再生・細胞医療・遺伝子治療研究開発課題 (非臨床PoC取得研究課題))

公募説明資料

令和4年12月

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

再生医療実現加速化プログラム (再生・細胞医療・遺伝子治療研究開発課題
(非臨床PoC取得研究課題)) 事務局

説明内容

1. 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクトについて
2. 再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラムについて
3. 再生・細胞医療・遺伝子治療研究開発課題について
4. 非臨床PoC取得研究課題について
5. 事務説明

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。

基礎・応用研究

非臨床試験

臨床研究・治験

再生医療等製品の実現化

■ 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 研究中核拠点
- 再生・細胞医療・遺伝子治療 研究開発課題
- 技術開発個別課題
- 幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム
- 再生・細胞医療・遺伝子治療 研究実用化支援課題

■ 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・細胞医療・遺伝子治療 産業化促進事業
- 遺伝子治療製造技術開発
- QbDに基づく再生医療等製品 製造の基盤開発事業
- 再生医療等製品用ヒト(同種)体性 幹細胞原料の安定供給促進事業

- 難治性疾患実用化研究事業
- 革新的がん医療実用化研究事業

- 再生医療実用化研究事業
- 再生医療実用化基盤整備促進事業

創薬等への活用

■ 再生・細胞医療・遺伝子治療 実現加速化プログラム

- 疾患特異的iPS細胞を用いた病態解明・創薬研究課題
- 幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム
- 再生・細胞医療・遺伝子治療 研究実用化支援課題

■ 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

- 再生医療技術を応用した高度な創薬支援ツール技術開発

- 再生医療実用化研究事業

文科省

厚労省

経産省

再生医療の実用化(市販・医療への普及等)

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

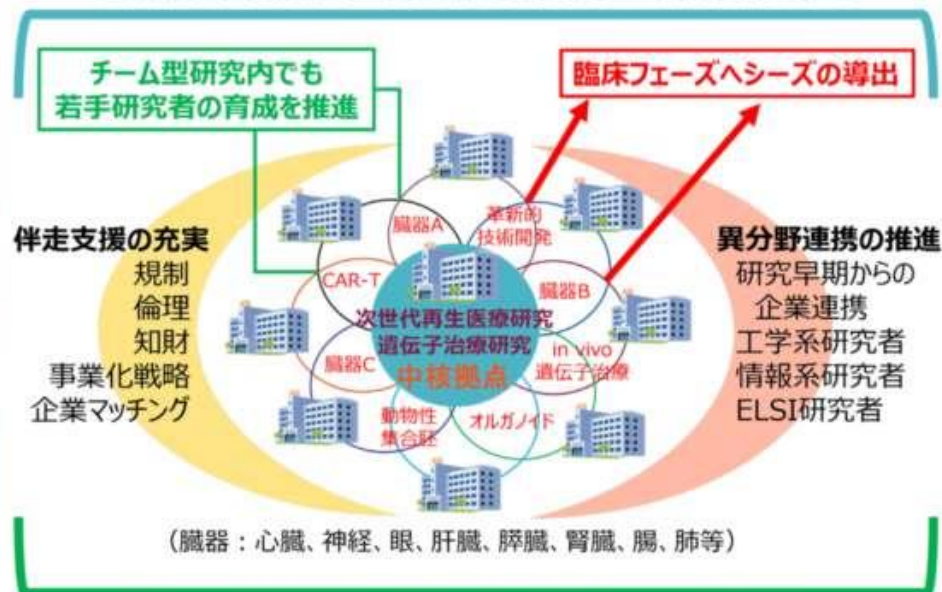
③ 疾患特異的iPS細胞を用いた病態解明・創薬研究課題

- ・ 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



【事業スキーム】



再生・細胞医療・遺伝子治療研究開発課題 (非臨床PoC取得研究課題) について



事業趣旨

既に基礎的な研究実績があるシーズの非臨床PoCを確立するトランスレーショナル・リサーチ(TR)や、これまでに実施した臨床研究・治験から作用機序の解明等の基礎的な研究に立ち戻ることによって新たな非臨床PoCを確立するリバース・トランスレーショナル・リサーチ(rTR)を支援します。また、本公募では、実用化を見据えた研究開発の提案を求めます。さらに、研究の継続的な発展には人材の育成が必要であることから、チーム型研究を通じた若手研究者の育成促進を図ります。

目標

再生・細胞医療・遺伝子治療の実現を目指して、事業終了年度末までに、**科学的根拠の裏付けをもって堅牢性のある非臨床PoCを確立する**ことを目標とします。

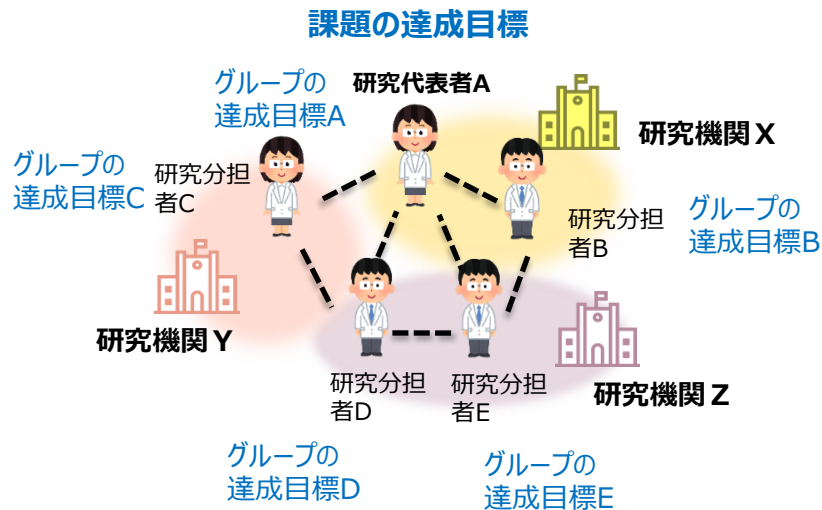
研究開発費の規模・研究開発期間・採択課題予定数

#	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	非臨床PoC取得研究課題 (チーム型)	1課題当たり年間 100,000千円以下 (上記の他 20,000 千円は 研究成果の実用化のための 経費として措置※)	開始： 令和5年 5 月 (予定) 期間：3～5年 (最長令和9年度末)	0～8 課題程度
2	非臨床PoC取得研究課題 (チーム型・rTR)			0～2課題程度
3	非臨床PoC取得研究課題 (個別型)	1課題当たり年間 42,300千円以下 (上記の他 10,000 千円は 研究成果の実用化のための 経費として措置※)		0～6 課題程度
4	非臨床PoC取得研究課題 (個別型・rTR)			0～2 課題程度

チーム型と個別型について

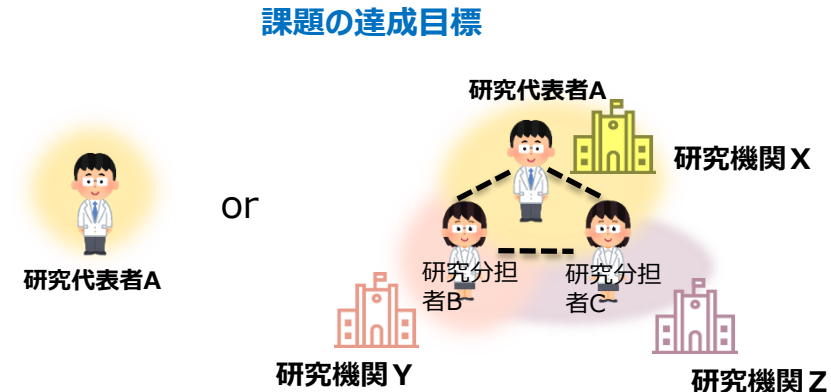
i) チーム型

- ・ 研究開発代表者が率いるグループを筆頭とし、研究開発分担者が率いるグループ（1～3グループ程度）とチームを形成してください。
- ・ 異なった専門性を有する研究者・研究機関等を参画させてください。
- ・ 若手研究者が研究開発分担者として参画するなど、チーム全体として若手人材を育成してください。
- ・ 役割に応じた適切な研究費を各グループに分配してください。
- ・ **構成する各グループは達成目標を定めてください。**この各グループの達成目標は、課題全体の達成目標に貢献するものとします。研究開発代表者は、各グループの進捗管理を含む全体マネジメントを行える体制を整えてください。
- ・ 医療機関や企業が参画または連携することが推奨されます。



ii) 個別型

- ・ **研究開発代表者が主体**となって実施します。
- ・ 必要に応じて**研究開発分担者や研究開発協力者が参画することは可能**です。
- ・ 研究開発分担者及び研究開発協力者は研究開発代表者と同一機関でも異なる機関でも構いません。
- ・ 達成目標は課題として1つ定めればよく、**研究開発分担者が、研究開発代表者と異なる達成目標を持つ必要はありません。**
- ・ 医療機関や企業が参画または連携することが推奨されます。



チーム型について

理想的な組合せ例

- 再生・細胞医療研究者と遺伝子治療研究者
- 医学系と医学系以外（歯・薬・理・工学系や情報系、倫理や規制領域の専門家等）
- 動物モデル作製においてマウス研究者とブタの専門家や発生工学の専門家
- 特定の技術を持った研究者と、その技術を幅広く利用できる疾患や臓器研究の専門家（1つの技術が複数の臓器や疾患に関与する研究や、1つの疾患を複数の技術やモデルで検証するような研究）
- 医療機関と研究成果の実用化・事業化に向けた企業・産業界

厳正な審査が必要な例

- 分担研究者が一時期しか研究に関わらない（一時的な製造による製品の提供やモデル動物の提供、解析の実施・補助など）
- 疾患、技術等に関して同じ機能を持った研究グループの集まり
- 各グループの独立性が高く、連携が希薄
- 妥当な理由なく一部のグループへの研究費の配分額が極端に偏っている

研究内容

以下の要件をすべて満たす研究を応募対象とします。

公募要領から抜粋

- ✓ 非臨床PoC取得に向けた準備が整っている、または準備が整う見通しが立っている研究
- ✓ 再生・細胞医療・遺伝子治療の実現に向けて堅牢性のある非臨床PoCを確立する研究
- ✓ 研究期間終了までに非臨床PoC取得に必要な動物への投与・評価が完了し、非臨床PoCを確立する研究
- ✓ ある対象疾患に対して、使用する細胞、スキャフォールド、遺伝子導入法等が明確である研究
- ✓ 事業期間内に研究成果の実用化に向けた周辺特許獲得や侵害特許の有無を詳細に調査・検討する
- ✓ 令和5年度に『再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト』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、支援を受ける予定の課題とは異なる研究シーズの研究

研究内容

公募研究開発課題 2, 4 (rTR) では、前スライド要件に加えて、以下の要件を満たす研究を応募対象とします。

公募要領から抜粋

- ✓ rTRの必要性が明確である研究
- ✓ 既に臨床段階へ進展した治療法や既存の標準的な治療法と比較した上で新規性・有効性・改良点・実用化が期待できる研究
- ✓ 臨床研究を実施した研究体制と異なる分野の研究者や企業が参画する研究 (推奨)

公募要領から抜粋

- ✓ 適切な実施期間を設定して提案してください。
- ✓ 実施期間の妥当性を提案書に記載ください。
- ✓ 4年以上の研究期間で提案の課題については、適切な時期に中間評価を実施し、研究開発進捗状況等によっては、研究開発の中止・中断や研究開発費が変動することがあります。

公募期間・選考スケジュール

公募期間

- 令和4年12月26日(月)～令和5年2月8日(水)正午厳守

書面審査

- 令和5年2月上旬～令和5年2月下旬(予定)

ヒアリング

- 令和5年3月下旬(予定)

採択通知

- 令和5年4月下旬(予定)

交付決定

- 令和5年5月下旬(予定)

提出書類

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	研究開発スケジュール、実施体制図を含む。
2	必須	別紙1_要約(英文・和文)	
3	必須	別紙4_非臨床PoC取得に向けた準備状況	
4	必須	別添_経費内訳	
5	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ル様式	※ヒト全ゲノムシーケンス解析を実施する場合

対象となる経費（1）

	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：当該委託研究開発のために雇用する研究員等の人件費（研究開発代表者・研究開発分担者の人件費※ ² を含む。） 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（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、ライセンス料、研究開発代表者が所属研究機関において担っている業務のうち研究開発以外の業務の代行に係る経費（バイアウト経費）、不課税取引等に係る消費税相当額等
間接経費	直接経費に対して一定比率（30%目安）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研究機関が使用する経費	

事務処理説明書・様式集 (https://www.amed.go.jp/keiri/youshiki_itaku.html)

対象となる経費（2）

研究成果の実用化のための経費

（知的財産の権利化において、特許等申請のための実施例の補強に必要な追加実験の外注費、体制整備費、調査費等）

は研究開発費に含まず、

チーム型は年間20,000千円、

個別型は年間10,000千円を上限として加算措置が可能です（間接経費含まず）。

- 年間の研究開発費とは別に措置が可能な経費です。
- 提案書等には研究開発費と研究成果の実用化のための経費の総額を記載してください。
- 実用化のための経費は、研究開発費に振り替えはできません。
- 実用化のための経費詳細は別添_経費内訳に記載してください。

ヒト全ゲノムシーケンス解析プロトコール様式

- 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。

ヒト全ゲノムシーケンス解析プロトコール様式（2）

- 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。
- 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

審査項目と観点（1）

事業趣旨との整合性

- 事業趣旨、目標等に合致しているか

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
- 国際的競争力の高い優れた研究成果が期待できるか
- 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

計画の妥当性

- 全体計画の内容と目的は明確であるか（実用化が明確であるかどうかを含む）
- 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
- 研究計画は堅牢性のある非臨床PoCとして成立しているか
- 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

審査項目と観点（2）

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／過度の集中はないか
- 再生・細胞医療・遺伝子治療分野の融合的な発展を目指した異分野連携を有するか（チーム型のみ）
- 本研究領域の次世代を担う若手研究者を育成する体制が考慮されているか（チーム型のみ）

所要経費

- 経費の内訳、支出計画等は妥当であるか
- 各研究開発に要する支出計画が明確であるか
- 研究開発費が代表グループのみに集中せず、各グループに適切な配分となっているか（チーム型のみ）

お問い合わせ先

- 公募研究開発課題、評価、提案書類の記載方法等についてのお問い合わせは 下記アドレスまでメールでお願いします。

国立研究開発法人 日本医療研究開発機構
再生・細胞医療・遺伝子治療事業部 再生医療研究開発課
再生医療実現加速化プログラム（再生・細胞医療・遺伝子治療研究開発課題（非臨床PoC取得研究課題））事務局

saisei-poc@amed.go.jp

※ E-mail は上記アドレス“AT”の部分を@に変えてください

- 情報の更新がある場合はAMEDウェブサイトの公募情報に掲載します。