



令和5年度
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)
分野2・公募補足資料

令和5年1月

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

内容

1. 事業概要
2. 提案書類作成上の留意点

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

文科省

厚労省

経産省

再生医療等製品の
実現化

再生医療の実用化（市販・医療への普及等）

- 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・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

- 再生医療実用化研究事業
- 再生医療実用化基盤整備促進事業

■ 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
- 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
- 遺伝子治療製造技術開発

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

- 再生医療実用化研究事業

■ 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・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム 事業概要

背景・課題 / 事業内容

(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

- ・ 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
- ・ 次世代を担う研究者の輩出に向けた**若手研究**の促進
- ・ **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
- ・ 分野内外の研究者や医療・産業界との連携を促す**ハブ機能の構築**

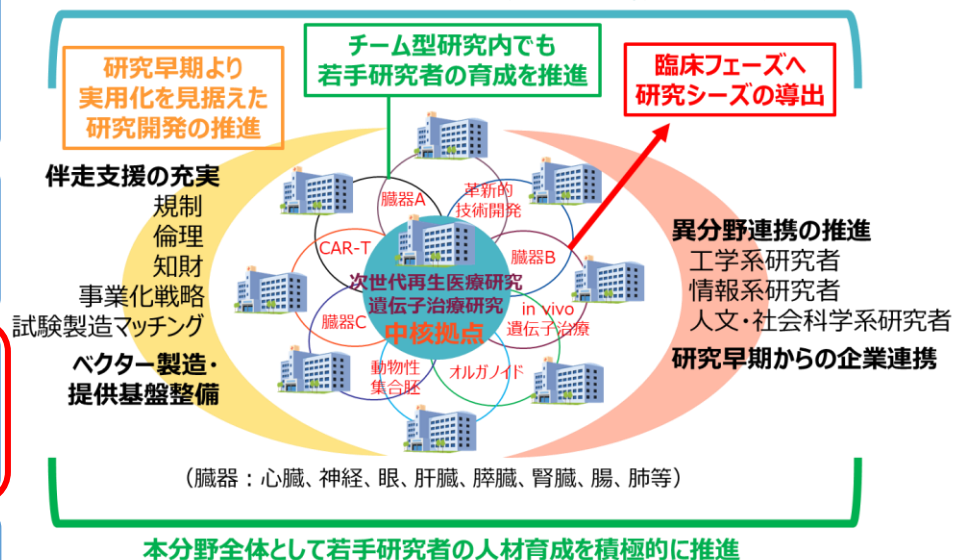
③ 疾患特異的iPS細胞を用いた病態解明・創薬研究課題

- ・ 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等のための**規制・倫理・知的財産面**の伴走支援
- ・ 研究早期からの**事業化戦略作成支援**
- ・ ベクター（細胞へ遺伝子を導入する媒体）の**製造・提供基盤整備**
※令和4年度第2次補正予算にて設備整備費用を措置
- ・ 細胞・ベクターの試験製造マッチング支援

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化の推進



【事業スキーム】



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・創薬研究課題の令和5年からの全体像

(赤枠：本公募)

病態解明課題

- 疾患特異的iPS細胞を活用した難病等の病態解明
- チーム型、個別型（一般枠・若手枠）

(R3~5) 病態解明課題含む

技術開発課題

- 疾患特異的iPS細胞を活用した疾患研究や創薬の発展につながる病態解析技術の高度化を目指した技術開発
- 個別型（一般枠・若手枠）

創薬スクリーニング系確立課題

- 疾患特異的iPS細胞を用いた疾患研究の成果として見出した創薬標的候補分子を使った創薬研究
- * 創薬スクリーニング系の「確立」まで。
大規模スクリーニングの実施は本事業対象外

疾患特異的iPS細胞利活用促進のための共同研究支援課題

- 疾患研究者とiPS細胞研究者との最適なマッチング
- 企業等のiPS創薬裾野拡大のためのニーズ調査

難病等疾患特異的iPS細胞の樹立・バンク拡充課題 (R4~)

- 理研BRCへの新たな指定難病の疾患特異的iPS細胞の寄託及び症例数の増加

疾患付随情報充実バンク課題 (R4~)

- 特定の疾患や領域の症例数や付随情報が充実した細胞バンクの構築

バンク利活用促進課題

- 寄託iPS細胞が多くの研究者や企業に活用される環境の整備

iPS細胞バンク

(理化学研究所バイオリソース研究センター
：理研BRC)

疾患特異的iPS細胞利活用促進のための共同研究課題

- iPS細胞を活用したことのない疾患研究者とiPS細胞の活用実績が豊富な研究者との共同研究

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 令和5年度 公募課題一覧（他公募含む）

	公募研究開発課題名	公募研究開発課題の概要	公募締め切り
分野1	病態解明課題 (チーム型・ 個別型(一般・若手))	難病等の患者由来の疾患特異的iPS細胞等を用いた疾患発症機構の解明や病態解析技術の高度化の推進	令和5年 2月17日(金)
	バンク利活用促進課題	理研BRCの疾患特異的iPS細胞バンクの利活用を促進し、寄託されたiPS細胞をより多くの研究者・企業が利活用できる環境の整備	
分野2	技術開発課題(一般・若手)	疾患特異的iPS細胞を活用した疾患研究や創薬の発展につながる病態解析技術の高度化を目指した技術開発	令和5年 2月2日(木)
	創薬スクリーニング系確立課題	疾患特異的iPS細胞を用いたこれまでの疾患研究によって見出した創薬標的候補分子を使った創薬スクリーニング系確立※ (※大規模スクリーニングの実施は本事業対象外)	
分野3	疾患特異的iPS細胞利活用促進のための共同研究支援課題	「疾患特異的iPS細胞利活用促進のための共同研究課題」の支援を行う	令和5年 2月27日(月)
	疾患特異的iPS細胞利活用促進のための共同研究課題	疾患特異的iPS細胞を用いた研究開発を検討しているが当該iPS細胞に係る知見や技術が不足しているために疾患特異的iPS細胞を活用することが難しい「疾患研究者」と、iPS細胞研究の経験や実績が豊富な「iPS細胞研究者」による共同研究	

(令和4年12月26日公募開始課題)

<公募情報>

分野1 : https://www.amed.go.jp/koubo/13/01/1301B_00025.html

分野2 : https://www.amed.go.jp/koubo/13/01/1301B_00027.html

分野3 : https://www.amed.go.jp/koubo/13/01/1301B_00028.html

※注意：締め切り日が分野ごと異なります。

疾患特異的iPS細胞を用いた病態解明・創薬研究課題 分野2（技術開発課題・創薬スクリーニング系確立課題）の公募概要

- 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11頁）

■ 公募期間：令和4年12月26日（月）～令和5年2月2日（木）正午 厳守※

#	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	技術開発課題（一般）	1課題当たり年間 30,000千円以下	最長3年 令和5年度 ～令和7年度末	0～3課題程度
2	技術開発課題（若手）	1課題当たり年間 21,000千円以下	最長3年 令和5年度 ～令和7年度末	0～3課題程度
3	創薬スクリーニング系確立課題	1課題当たり年間 30,000千円以下	最長3年 令和5年度 ～令和7年度末	0～3課題程度

各応募枠における1研究機関（部局単位）あたりの採択数は最大2課題（所属機関は申請時のものとする）。

疾患特異的iPS細胞を用いた病態解明・創薬研究課題 分野2（技術開発課題・創薬スクリーニング系確立課題）の概要

**公募研究開発課題の内容、スケジュール及び審査方法等は
公募要領・第3章と第4章をよくお読みください。**

提出書類の作成

(公募要領20頁)

■提出書類様式の入手方法

AMEDウェブサイトの公募情報からダウンロードしてください。

分野2：https://www.amed.go.jp/koubo/13/01/1301B_00027.html

■提出書類

1. (様式1) 研究開発提案書 (必須)
2. 提案書別紙1_要約 (英文・和文) R5年度 (必須)
3. ヒト全ゲノムシーケンス解析プロトコール
(ヒト全ゲノムシーケンス解析やヒト全エクソーム解析を実施する場合は必須)
4. 産前・産後休業または育児休業を取得したことを所属機関の長が証明した書類 (技術開発課題 (若手枠) に応募する該当者のみ・任意)

提出書類の作成 提案書作成上の留意点

(様式1)

日本医療研究開発機構 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 研究開発場定書

研究開発課題名 (英語表記)	〇〇に関する研究開発 Study of 〇〇	
公募名(事業名)	疾患特異的 iPS 細胞を用いた 〇〇課題	
研究開発期間	令和5年 X月 Y日	
ヒト全ゲノムシーケンス解析	<input type="checkbox"/> 実施する <input type="checkbox"/> 実施しない <small>※いずれかに<input checked="" type="checkbox"/>。実施する場合、ヒト全ゲノムシーケンス解析プロトコル様式を提出。</small>	
研究 開 発 代 表 者	氏名	(フリガナ) 〇〇〇〇 〇〇〇〇 (漢字、ローマ字表記) 〇〇 〇〇 Yyyy Yyyyyy
	研究者番号	12345678
	所属機関 (正式名称)	〇〇法人〇〇大学
	住所	〒XXX-XXXX 〇〇県〇〇市〇〇町
	電話番号	XX-XXXX-XXXX
	E-mail	YYY@YY.jp
	所属部署(部局)	〇〇学部〇〇学科
	役職	〇〇

いずれかにチェックする(全ゲノムシーケンス解析もしくは全エクソーム解析を実施するか)。
実施する場合は、プロトコルを提出する。
公募要領「2.2.6データシェアリングについて」を必ず確認すること。

e-Radの研究者番号を記載する

提出書類の作成 提案書作成上の留意点

研究開発代表者及び研究開発分担者

	氏名	所属機関*1	現在の専門	令和5年度 研究経費*2 (千円)	エフ オー ト (%)
	生年月 (年齢:令和5 年4月1日時点)	所属部署 (部局) *1	学位 (最終学歴) 学位取得年		
		役職*1	役割分担		
研究開発代表者	〇〇 〇〇	〇〇〇〇大学	△△△	X,XXX	XX
	S49/11 (XX)	△△△学部△△△学科	△△博士 (〇〇大学) H14年		
		△△△	研究の統括		
		(主たる研究担)			XX

本提案における役割分担を記載する

直接経費を記載する

経費については、「直接経費」を千円単位で記載してください。

提出書類の作成 提案書作成上の留意点

1 研究目的

- 研究の目的について、評価者が理解しやすいように、必要に応じて図や表を用いて 3 頁以内（文字は 10 または 10.5 ポイント）で作成してください。
- 研究の目的及び必要性、将来のビジョンについて、科学技術上の価値・意義、社会的な要請、経済・産業の発展性、当該分野や関連分野の動向等を含めて、適宜文献を引用しつつ、具体的且つ明確に記載してください。
- …ください。
- 公募要領「4.2.2 審査項目と観点」をよく確認して記入してください。

- 黒字は全て残したままで記載ください
- 青字は削除してください

提出書類の作成

(公募要領22頁)

■提出方法

e-Rad（府省共通研究開発管理システム）による申請

<https://www.e-rad.go.jp/>

提出時は、「基本情報」と並び「個別項目」のタブで、応募する課題を選択してください。

The screenshot shows the e-Rad application interface. At the top, there are four tabs: '基本情報' (Basic Information), '研究経費・研究組織' (Research Expenses/Research Organization), '個別項目' (Individual Items), and '応募・受入状況' (Application/Admission Status). The '個別項目' tab is selected and circled in red. Below the tabs, there is a dropdown menu with the text '技術開発課題・創薬スクリーニング系確立課題' (Technology Development Projects/Drug Discovery Screening System Establishment Projects). The dropdown menu is open, showing three options: '技術開発課題（一般）' (Technology Development Projects (General)), '技術開発課題（若手）' (Technology Development Projects (Young Researchers)), and '創薬スクリーニング系確立課題' (Drug Discovery Screening System Establishment Projects). A red callout box with the text 'プルダウンで目的の課題を選ぶ' (Select the target project from the dropdown) points to the dropdown menu.

公募期間と選考スケジュール

(公募要領20頁)

提案書類受付期間	令和4年12月26日（月）～令和5年2月2日（木） 正午
書面審査	令和5年2月中旬～3月上旬（予定）
ヒアリング審査	令和5年4月上旬（予定）
採択可否の通知	令和5年5月下旬（予定）
研究開発開始日	令和5年7月上旬（予定）

公募要領を熟読し、ご応募ください

本公募に関する個別の問い合わせについて

日本医療研究開発機構（AMED）
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
公募担当

E-mail : saisei-ips@amed.go.jp

※お問い合わせは、公募要領、公募情報HP掲載のFAQを確認の上、メールで
お願い致します。

※E-mailは上記アドレス“AT”の部分を@に変えてください。

