



令和6年度 再生医療等実用化研究事業 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

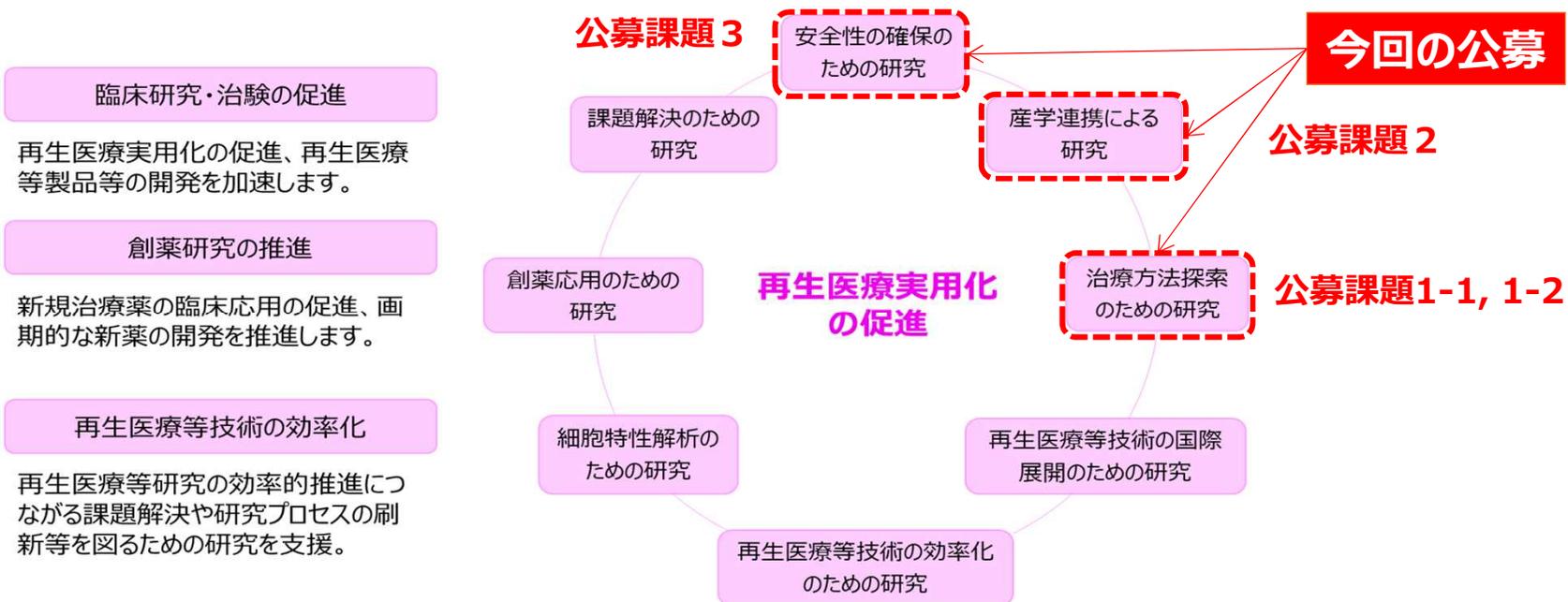
1. 再生医療等実用化研究事業の概要
2. 令和6年度公募の概要
3. 応募資格者
4. 各公募課題の概要
5. 令和6年度公募のスケジュール
6. 応募に必要な提案書類
7. ヒト全ゲノムシーケンス解析プロトコール様式について
8. 提案書類の提出方法
9. お問い合わせ先

1. 再生医療等実用化研究事業の概要

再生医療等は、機能不全になった組織、臓器を補助・再生させる医療で、今までの治療では対応困難であった疾患に対する新たな治療法となり得るものであり、その実用化は喫緊の課題です。

本事業では、再生医療等に関する倫理性及び科学性が十分に担保され得る臨床研究及び医師主導治験計画に対して、非臨床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、それらに関連する基盤技術の開発を促進することにより、我が国において最新の再生医療等を世界に先駆けて本格的に実用化することを目指します。

令和5年度からは、従来の再生・細胞医療、*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、研究開発の支援を行っています。



2. 令和6年度公募の概要

令和6年度は、以下の4つの課題を公募します。

#	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
1-1	再生・細胞医療・遺伝子治療の実用化に係る研究 (臨床開始準備)	1 課題当たり年間 60,000千円 (上限)	最長 3 年間 令和 6 ~ 8 年度	0 ~ 3 課題程度
1-2	再生・細胞医療・遺伝子治療の実用化に係る研究 (臨床試験)	1 課題当たり年間 80,000千円 (上限)	最長 3 年間 令和 6 ~ 8 年度	0 ~ 4 課題程度
2	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	1 課題当たり年間 80,000千円 (上限)	最長 5 年間 令和 6 ~ 1 0 年度	0 ~ 2 課題程度
3	再生医療等製品の実用化を促進するために必要な 品質・安全性確保のための研究	1 課題当たり年間 15,000千円 (上限)	最長 3 年間 令和 6 ~ 8 年度	0 ~ 2 課題程度

2. 令和6年度公募の概要

公募課題 1 と 2 の比較について（同じ提案を両方に応募することはできません。）

	公募課題 1	公募課題 2
事業プログラム趣旨	治療方法探索のための研究 有効な治療法のない疾患に対する画期的な再生・細胞医療、遺伝子治療法の臨床研究・医師主導治験を支援します。	産学連携による研究 アカデミア発の再生医療等製品シーズを速やかに実用化に繋げていくため、アカデミアと企業が協力し、薬事承認・事業化を見据えた開発を進める研究を支援します。
公募課題名	再生・細胞医療・遺伝子治療の実用化に係る研究	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
対象シーズ	再生・細胞医療・遺伝子治療 (細胞加工物、ウイルスベクター等)	再生・細胞医療・遺伝子治療 (細胞加工物、ウイルスベクター等)
対象とする臨床試験	臨床研究（安確法） 医師主導治験（薬機法） 先進医療B（安確法＋先進医療制度）	臨床研究（安確法） 医師主導治験（薬機法）
協力企業*の参加	協力企業の参加なしでも応募可 (協力企業の参加ありでも応募できます。)	製造販売承認を目指す企業 or 製薬企業等への導出を目指して開発を進めるベンチャー企業の参加が必須
協力企業への研究費配分	協力企業（分担機関）への研究費配分なし 外注は可	協力企業（分担機関）への研究費配分あり 外注も可
研究費・研究期間	開発段階ごとに公募（stepwise） 公募1-1（臨床準備）：6000万円×3年間 公募1-2（臨床）：8000万円×3年間	一気通貫で支援（seamless） パターン① 臨床準備～臨床：8000万円×5年間 パターン② 臨床：8000万円×5年間

*協力企業：ここでは製造販売承認・先進医療等を目指して、アカデミアと協力して開発を進める企業（分担機関として参加する企業）を指しており、外注先の企業を含みません。

3. 応募資格者

- 本事業の応募資格者は、以下（１）～（５）の要件を満たす**国内の研究機関等に所属し、かつ、主たる研究場所とすること。**
- また、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）とします。**

（１）以下の（Ａ）から（Ｇ）までに掲げる研究機関等に所属していること。

- （Ａ） 国の施設等機関
- （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
- （Ｇ） その他AMED理事長が適当と認めるもの

※ 「民間企業の研究開発部門、研究所等」を代表機関として応募することはできません。分担機関として参加することは可能です。

（２） 課題が採択された場合に、課題の遂行に際し、機関の施設及び設備が使用できること。

（３） 課題が採択された場合に、契約手続等の事務を行うことができること。

（４） 課題が採択された場合に、本事業実施により発生する知的財産権（特許、著作権等を含む。）及び研究開発データの取扱いに対して、責任ある対処を行うことができること。

（５） 本事業終了後も、引き続き研究開発を推進し、他の研究機関及び研究者の支援を行うことができること。

4. 各公募課題の概要（公募課題1-1）

公募課題1-1	再生・細胞医療・遺伝子治療の実用化に係る研究（臨床開始準備）
研究開発費	年間60,000千円（上限）
研究開発期間	3年間（令和6～8年度）
公募内容	<u>再生医療等安全性確保法又は医薬品医療機器等法に従い、臨床研究又は医師主導治験を開始するために必要な製造、品質管理及び非臨床安全性に関する研究等を実施し、再生医療等提供計画又は治験計画届を提出することを目的とする研究開発課題を募集します。</u>
応募要件	<ul style="list-style-type: none">● <u>未だ有効な治療法がない疾患を対象とした画期的な再生・細胞医療・遺伝子治療の実用化を目指す研究</u>であること。● 研究開発の対象（シーズ）が、<u>再生医療等安全性確保法で定める再生医療等技術、あるいは医薬品医療機器等法で定める再生医療等製品（in vivo遺伝子治療用製品を含む）</u>であること。● 疾患モデル動物における結果等から、<u>対象疾患に対するヒトでの有効性が、エビデンスに基づいて説明可能であること（非臨床PoCが確立していること）</u>。また、<u>想定する作用機序を説明できるデータが得られていること</u>。● 提供しようとする再生医療等技術又は再生医療等製品について、<u>再現性のある基本的な製造法（実験室レベルで可）が確立していること</u>。

4. 各公募課題の概要（公募課題1-2）

公募課題1-2	再生・細胞医療・遺伝子治療の実用化に係る研究（臨床試験）
研究開発費	年間80,000千円（上限）
研究開発期間	3年間（令和6～8年度）
公募内容	再生医療等安全性確保法又は医薬品医療機器等法に従い、臨床研究又は医師主導治験を実施する研究開発課題を募集します。
応募要件	<ul style="list-style-type: none">● <u>未だ有効な治療法がない疾患を対象とした画期的な再生・細胞医療・遺伝子治療の実用化を目指す研究</u>であること。● 研究開発の対象（シーズ）が、<u>再生医療等安全性確保法で定める再生医療等技術、あるいは医薬品医療機器等法で定める再生医療等製品（in vivo遺伝子治療用製品を含む）</u>であること。● 疾患モデル動物における結果等から、<u>対象疾患に対するヒトでの有効性が、エビデンスに基づいて説明可能であること（非臨床PoCが確立していること）</u>。また、<u>想定する作用機序を説明できるデータが得られていること</u>。● 学内学外を問わず、<u>臨床試験の実施体制（臨床用製品の製造及び品質管理体制、臨床試験支援体制、生物統計家の協力など）が十分に構築されていること</u>。● <u>既に臨床試験を開始している研究開発課題、あるいは速やかに臨床試験を開始できる研究開発課題</u>であること。（研究開始後1年以内に再生医療等提供計画又は治験計画届を当局に提出できない場合は、令和7年度以降の支援を中止することがあります。*）

* 達成する見込みがない場合は、公募課題1-1（臨床開始準備）への応募を検討してください。

4. 各公募課題の概要（公募課題2）

公募課題2	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
研究開発費	年間80,000千円（上限）
研究開発期間	5年間（令和6～10年度）
公募内容	<p><u>アカデミア発の再生医療等製品シーズ</u>（細胞加工物、ウイルスベクター等）を<u>企業の協力を得て開発する研究開発課題</u>を募集します。</p> <p>以下の研究課題を想定していますが、これに限るものではありません。</p> <ul style="list-style-type: none">● 臨床試験開始のために必要な製造、品質及び非臨床安全性に関する研究を実施し、「初めて患者に投与・移植を行う臨床試験（First in Human試験）」を実施する研究課題● 既に実施した First in Human試験の結果をもとに、次相試験として「有効性評価を主たる目的として行う医師主導治験」を実施する研究課題
応募要件 （つづく）	<ul style="list-style-type: none">● <u>アカデミア発の再生医療等製品シーズ</u>（細胞加工物、ウイルスベクター等）の<u>開発を目指した研究課題</u>であること。 <p>※ アカデミア発：原則として、国内の大学等を含む公的研究機関の研究者が当該シーズの発明者に含まれていること。当該発明者が研究開発代表者又は研究開発分担者であることが望ましい。</p> <p>※ 再生医療等製品シーズ：医薬品医療機器等法において、再生医療等製品に該当するもの。</p>

4. 各公募課題の概要（公募課題2）

公募課題2	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
応募要件 (つづき)	<ul style="list-style-type: none">● 当該製品シーズの<u>製造販売承認申請を目指す企業</u>（製薬企業等への導出を目指すベンチャー企業を含む。以下、<u>分担企業</u>という。）が<u>分担機関として参画する研究課題</u>であること。 なお、企業が代表機関として本公募課題に応募することはできません。 また、<u>研究開発期間中に分担企業が参加を取り止めた場合（分担する研究開発項目を実施する責任を果たさなかった場合を含む）は、支援を中止します。</u>● <u>再生医療等安全性確保法に従い臨床研究を実施する研究開発課題</u>、又は<u>医薬品医療機器等法に従い医師主導治験を実施する研究開発課題</u>であること。 なお、<u>研究開始後3年以内に再生医療等提供計画又は治験計画届を当局に提出できない場合は、原則として、令和9年度以降の支援を中止します。</u>● 疾患モデル動物における結果等から、<u>対象疾患に対するヒトでの有効性が、エビデンスに基づいて説明可能であること</u>（非臨床PoCが確立していること）。また、<u>想定する作用機序を説明できるデータが得られていること。</u>● <u>製造販売承認申請に向けたロードマップが十分に検討されていること。</u> また、そのロードマップを達成するために、<u>実現性の高い研究開発体制及び研究開発計画が立案されていること。</u>

4. 各公募課題の概要（公募課題3）

公募課題3	再生医療等製品の実用化を促進するために必要な品質・安全性確保のための研究
研究開発費	年間15,000千円（上限）
研究開発期間	3年間（令和6～8年度）
公募内容	<p>再生医療等製品の開発においては、安全性や有効性に関連性が高いと考えられる品質特性を可能な限りモニタリングする等、幅広い品質や安全性に関する情報を収集しておくことが重要です。また、細胞加工製品や遺伝子治療製品を含む再生医療等製品はその種類や特性、臨床上の適用法は多種多様で科学的進歩も著しいことから、実用化に向けて様々な品質や安全性に対する新規評価法の開発が望まれています。そこで、<u>当該新規評価法を確立する研究を支援し、再生医療等製品の実用化を促進します。</u></p> <p>以下に本公募課題にて想定する研究内容を例示しますが、これらに限りません。</p> <p>（研究開発課題の例）</p> <ul style="list-style-type: none">● アデノ随伴ウイルス（AAV）ベクターの空カプシド評価手法の開発● 細胞加工製品の品質（不均質性）の評価手法の開発● <i>in vivo</i>造腫瘍性試験の代替となる<i>in vitro</i>造腫瘍性試験の開発
応募要件	<ul style="list-style-type: none">● <u>公募の目的と合致し、求められる成果の創出が期待できること。</u>● これまでに再生医療等実用化研究事業に応募又は採択された研究課題の場合には、<u>前回応募時の研究計画からの発展性、改善点等が明確となっていること。</u>● <u>最終目標までのロードマップが明確になっている研究計画であること。</u>

5. 令和6年度公募のスケジュール

	公募期間	令和5年10月3日（火）～ 令和5年11月10日（金） 正午12:00（厳守）
	書面審査	令和5年11月中旬～ 令和5年12月中旬（予定）
	ヒアリング審査	令和6年1月下旬（予定）
	採択可否の通知	令和6年2月下旬（予定）
	研究開発開始 （契約締結）	令和6年4月1日（予定）

6. 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ル様式の提出がない場合は、不受理とします。

6. 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
		1-1	1-2	2	3	
9	(別紙6) 目標製品プロフィール	必須	必須	必須	—	
10	(別紙7) アカデミア発・再生医療等製品シーズの特許状況	—	—	必須	—	
11	(別紙8) 非臨床PoCの概要	必須	必須	必須	—	
12	(別紙9) 製造法の確立状況	必須	必須	必須	—	
13	(別紙10) 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	—	該当する場合必須	該当する場合必須	—	研究開始後に臨床試験を開始する場合
14	(別紙11) 臨床研究・医師主導治験の実施状況	—	該当する場合必須	該当する場合必須	—	提案時点で臨床研究・医師主導治験を実施している場合
15	(別紙12) 臨床試験における倫理的配慮	—	必須	必須	—	
16	(別紙13) カルタヘナ法への対応状況	該当する場合必須	該当する場合必須	該当する場合必須	—	遺伝子組換え生物等を用いる場合
17	臨床研究計画書 (PDF) 又は 治験実施計画書 (PDF)	—	必須	必須	—	(案) でも可
18	PMDA対面助言記録 (PDF)	該当する場合必須	該当する場合必須	該当する場合必須	—	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13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。

7. 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」となり、審査の対象となりません。

※ 詳細については、必ず公募要領を確認してください。

8. 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 1-1、1-2、2、3 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5年11月10日（金） 正午12:00（厳守）

9. 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

- ※ お問い合わせの受付は、E-mailのみとさせていただきます。
メールのタイトルに、「公募に関する問合せ」と明記してください。