



令和6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・遺伝子治療研究開発課題 (非臨床PoC取得研究課題))

公募説明資料

令和6年1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・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. 公募説明

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・遺伝子治療研究開発課題
- 再生・細胞医療・遺伝子治療研究中核拠点
- 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(R5終了)
- 技術開発個別課題(R5終了)
- 再生・細胞医療・遺伝子治療研究実用化支援課題

- 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

- 再生医療等実用化研究事業
- 再生医療等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(R5終了)
- 疾患特異的iPS細胞の利活用促進・難病研究加速プログラム(R5終了)
- 再生・細胞医療・遺伝子治療研究実用化支援課題

再生医療等実用化研究事業

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

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)

再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム

令和6年度予算額（案）	92億円
（前年度予算額）	92億円
令和5年度補正予算額	10億円



現状・課題

- 再生・細胞医療・遺伝子治療は、**既存の治療法がない難病等の患者へ新たな医療を提供**できる可能性があり、その世界市場は、**2040年には2020年の20倍に成長**すると見込まれ、**欧米を中心に研究開発の競争が激化**している。
- 「経済財政運営と改革の基本方針2023」や「新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画2023」においても、**再生医療等製品の開発強化**等、再生・細胞医療・遺伝子治療の**実用化を促進させる取組の推進**が掲げられている。
- 我が国が培ってきた**本分野の優位性を維持・向上させ、世界に先駆けて患者へ新たな医療を届ける**ためにも、**我が国発の基幹技術を活用した革新的な治療法の開発**、将来の商用製造を見据えた**製造工程を意識した研究の推進**、**製造基盤整備等の強化**等を行うことが重要。

取組内容

事業実施期間 令和5年度～令和9年度

① 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・産業界等との**研究ネットワーク構築**とその**ハブ機能**の発揮

② 再生・細胞医療・遺伝子治療研究開発課題

- ・ **新規治療手段の創出**を目指した再生・細胞医療と遺伝子治療の**融合研究**の実施
- ・ **我が国発の基幹技術**を有する革新的な治療法や**製造工程を意識した研究開発強化**
- ・ 次世代を担う研究者の輩出に向けた**若手研究の強化**、人材育成の促進

③ 疾患特異的iPS細胞を用いた病態解明・創薬研究課題

- ・ 患者由来の疾患特異的iPS細胞等を活用した**病態解明・創薬研究**の実施
- ・ 臨床情報等の充実した**疾患特異的iPS細胞バンクの整備と利活用の促進**

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**規制・倫理面の伴走支援**の実施
- ・ 研究早期からの**事業化戦略支援**の実施
- ・ **ベクター**（細胞へ遺伝子を導入する媒体）の**製造・提供支援の強化**
※令和5年度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**支援の実施

再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム

●次世代を担う若手研究者の参入促進と育成

●研究早期からの実用化を見据えた伴走支援の推進
規制・倫理的財産
事業化戦略
試験製造マッチング
ベクター製造・提供



●異分野連携の推進
工学系研究者
情報系研究者
人文科学研究者
社会科学研究者
産業界
製造企業（CDMO）
医療機関等

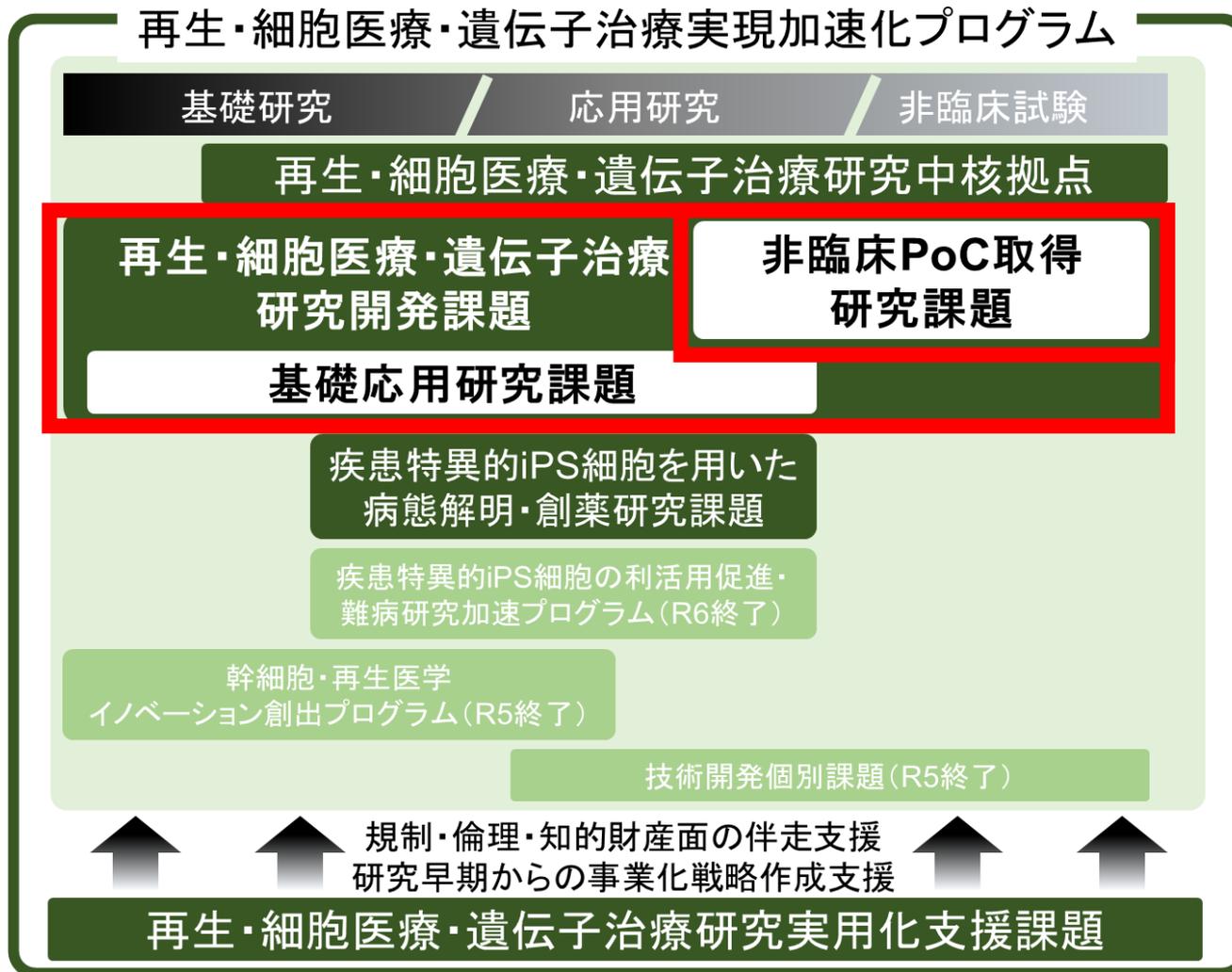
- 再生・細胞医療と遺伝子治療の融合研究の推進
- 研究早期より実用化を見据えた研究開発の推進
- 総合力の発揮を目指したチーム型研究の推進
- リバーストランスレシヨナルリサーチの推進

アンメットメディカルニーズを満たす新規治療法の創出
研究成果の実用化を加速（臨床フェーズや企業へ導出促進）



（担当：研究振興局ライフサイエンス課）

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



(公募要領 p1)

(公募要領 p5)

■ 事業趣旨

「非臨床PoC取得研究課題」(以下「本公募」)では、既に基礎的な研究実績があるシーズについて、実用化を見据えた**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。本公募で求める**実用化を見据えた研究開発**とは、例えば、アカデミアでの製造方法からCDMO等の企業製造所への技術移管を目的とした製造工程や品質管理項目の設定等、将来の商用製造を見据えた製造工程を意識した研究開発を指します。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。

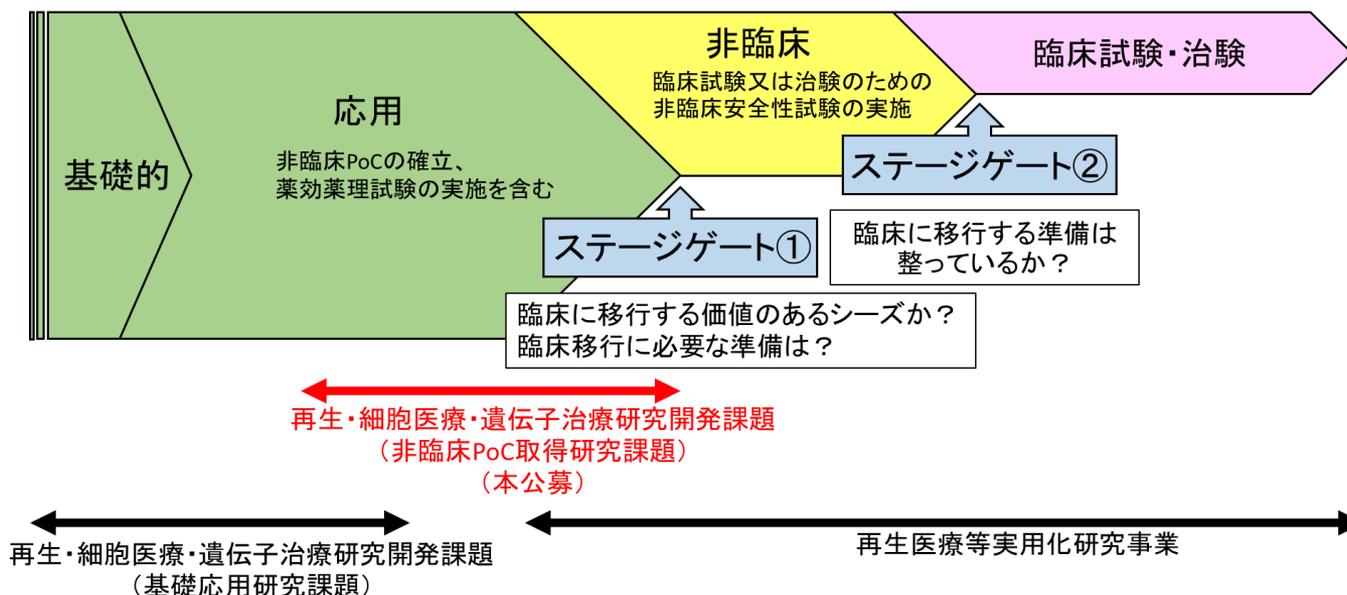
再生・細胞医療・遺伝子治療研究開発課題 (非臨床PoC取得研究課題) について

■ 目標

(公募要領 p5)

再生・細胞医療・遺伝子治療の実現を目指して、**研究課題終了年度末までに、科学的根拠の裏付けをもって堅牢性のある非臨床PoCを確立し、**再生医療研究事業のマネジメントに関するチェック項目※ 1 のステージゲート①に到達することを目標とします。

※ 1 <https://www.amed.go.jp/program/list/index03.html>



1. ターゲット又はシーズそのものの評価等に関すること

（1） 実用化の検討に値する研究であるか。

- モデル動物における結果等から、ヒトでの対象疾患に対する効果が、エビデンスに基づいて説明可能か（再現性のある結果が得られ、非臨床 POC が確立しているか）。想定する作用機序を説明できるデータが得られているか。
- 非臨床 POC の検討に用いた細胞加工物の細胞特性を検討し、期待する効果を担保する品質指標が明確になっているか。
- 対象疾患の想定、対象患者数、既存治療に対する本再生医療の位置づけ・優位性等の整理がなされているか。当該検討をもとに、具体的な実用化のイメージ（再生医療等製品の開発、医療技術の保険収載等）ができているか。
- 想定している実用化のイメージを実現するための道筋（臨床研究、治験のいずれから開始するか等）が明確になっているか。

（2） 非臨床安全性試験を開始するための準備が整っているか。

- 非臨床安全性試験に用いる細胞加工物が決まっているか（効果が期待できる細胞加工物の製造方法が確立しているか）。臨床に使用する細胞加工物と非臨床安全性試験に用いる細胞加工物が異なる場合、品質同等性（又は外挿性）を説明する方法を考えているか。
- 非臨床安全性試験に用いる細胞加工物の品質が適切に評価できているか（経験者の適切なサポートが得られているか）。

<https://www.amed.go.jp/content/000033582.pdf>

（つづき）

- 臨床での投与部位、投与方法（回数、間隔を含む）、投与量、使用するデバイス等を想定して、非臨床安全性試験のプロトコルが作成されているか。治験を実施予定の場合、非臨床安全性試験のプロトコルについて、PMDA と合意がなされているか。
- 信頼性を担保した非臨床安全性試験を実施する準備が整っているか。

2. 研究環境等に関すること

（1） 次のステージにかかる研究開発実施体制（外部機関の活用を含む）の目処はあるか。

- 臨床プロトコルを作成するにあたって、臨床研究又は治験経験者のサポートが得られる目処があるか。
- ウイルスベクターによる遺伝子改変細胞を用いる場合、カルタヘナの対応について、開発スケジュールに応じて PMDA との協議を十分に行っているか。
- 臨床に用いる細胞加工物の製造の目処（委託先の選定等）がたっているか。臨床研究を実施予定で、研究者自らが製造する場合、「特定細胞加工物」の製造許可
- （届出）の準備が開始されているか。

（2） 知財に関し、知財担当者と導出に向けた適切な知財戦略や具体的な対応方策について検討を開始しているか。

- 1. 堅牢性のある非臨床PoCの確立**
- 2. 実用化を見据えた研究開発**
- 3. チーム型研究の推進**

事業期間内で求められる研究開発や取組 ～堅牢性のある非臨床PoCの確立～

(公募要領 p6、抜粋)

研究期間終了までに臨床現場からのニーズが明確であるシーズに対して、TR およびrTR とともに非臨床PoC 取得に必要な実験のみならず評価が完了し、非臨床PoC を確立することが求められます。

提案時のターゲットプロダクトプロファイル (TPP) を研究期間中も更新していくことで、以下を明確にしていきます。

- ✓ 対象疾患
- ✓ 有効性 :
- ✓ 開発する細胞加工物等の製品としての規格
- ✓ 競合品に対する優位性
- ✓ 付加価値 (患者のニーズ等)
- ✓ 市場性・収益性の初期的検討やライセンス戦略等の対応

※参考資料「非臨床Proof of Concept」を考える

https://www.amed.go.jp/program/list/13/01/001_RM_regulation.html

事業期間内で求められる研究開発や取組 ～実用化を見据えた研究開発～



(公募要領 p7、抜粋)

■ FIH (First in Human) の臨床試験を見据えた製造検討

- ・ 非臨床PoC試験は原則ヒトに投与するものと品質が一貫している製品を用いて試験し、評価する必要があります。
- ・ アカデミアでの製造方法をCDMO等の企業製造所に技術移管することを意識した製造工程開発を行い、頑健性（再現性）のある製造方法を確立する必要があります（企業と連携することが望ましい）。

■ ライセンス戦略の意識

- ・ 研究実施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・検討し、ライセンス戦略を意識することが必要です。
- ・ 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や、専門人材の雇用やコンサルティング等の体制整備、市場調査や先行文献調査等にかかる調査等を、研究成果の実用化のための経費を活用して進めてください。

■ 伴走支援の活用

- ・ 周辺特許獲得や侵害特許の有無を詳細に調査・検討する際、「再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム」の「再生・細胞医療・遺伝子治療研究実用化支援課題」による規制・倫理・知的財産面の伴走支援を受けることが可能です。
- ・ 実用化に向けた研究に要する細胞・ベクターを製造する施設とのマッチング支援等^{※2}を受けられます。

■ 窓口担当者の配置

- ・ 研究成果の実用化に向けて必要となる知財対応・産学連携のために必要な調整能力を有する窓口担当者を契約時までには設けてください。

事業期間内で求められる研究開発や取組 ～チーム型研究の推進

(公募要領 p7、抜粋)

チーム型研究：

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進める研究

留意事項

- ✓ グループ毎に課題全体の目標達成に資する達成目標を定めること
- ✓ 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実施
- ✓ 体制に臨床的意義が評価できる医師を含むこと
- ✓ 役割に応じた適切な研究費を各グループに分配すること
- ✓ チーム全体として若手人材を育成すること
- ✓ 異なった専門性を有する研究者・研究機関等が参画すること
- ✓ チームを構成するグループが相互に異なる法人で構成されること（推奨）
- ✓ 医療機関や企業が参画または連携すること（推奨）

理想的な体制の例

- ・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
- ・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

研究開始時点での望ましい準備状況

(公募要領 p8、抜粋)

- ✓ 研究用試薬で作製した細胞加工物等について、*in vitro*や*in vivo*での有効性が既に確認され、論文が公表されている等、なんらかの科学的データを提示可能であること
- ✓ 対象疾患に対して、使用する細胞、スキャフォールド、遺伝子導入法等がある程度定まっていること
- ✓ 医師主導治験や臨床研究を実施する医師の目処が立っていること
- ✓ 製造販売を担う導出先の企業を探し始めている、もしくは既に連携していること
- ✓ 基本となる特許が出願されており、侵害性調査も検討を始めていること
- ✓ 使用する他者技術についての権利関係が整理されていること

※rTRの提案については、上記に加えて以下の要件を満たしてください。

- ✓ rTRの必要性が明確となっていること
- ✓ 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こと
- ✓ 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こと
(推奨)

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 p4、抜粋)

#	分野、領域、 テーマ等	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 (上限)	令和6年6月 (予定) ～ 令和8年度末	0～4 課題程度

●補足事項

1. トランスレーショナル・リサーチ (TR) およびリバース・トランスレーショナル・リサーチ (rTR) に関する研究の提案が可能です。
2. 研究成果の実用化のための経費 (以下、「実用化経費」という。) は上記の表の研究開発費に加えて、年間20,000千円を上限として申請時点から措置します (間接経費含まず)。実用化経費は、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、調査費等が対象です。実用化経費を申請する場合の上限は、上記の表に記載の研究開発費に実用化経費を加えた額として、1課題当たり年間120,000千円とします (間接経費含まず)。

研究成果の実用化のための経費について

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）は研究開発費に加えて、年間20,000千円を上限として申請時点から措置します（間接経費含まず）。

留意事項

- (1) 消耗品購入等への流用は想定していません。
- (2) 当初計画の研究開発において必要な経費、たとえば動物の飼育、維持費や動物実験にかかる外注費、消耗品等は当初計画の研究開発費に含めておく必要があります。実用化経費は、知的財産の権利化において必要となる経費を対象に追加する措置のため、当初計画で計上すべき研究開発要素のある経費は、必ずしも趣旨に沿わないものになります。

対象となる経費（1）

（公募要領 p38、抜粋）

	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、臨床研究等における被験者及び介助者に係る旅費
	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、ウェブサイト作成費用等）、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（試験・検査業務・動物飼育業務等で、外注して実施する役務に係る経費）、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）※2、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%上限）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	

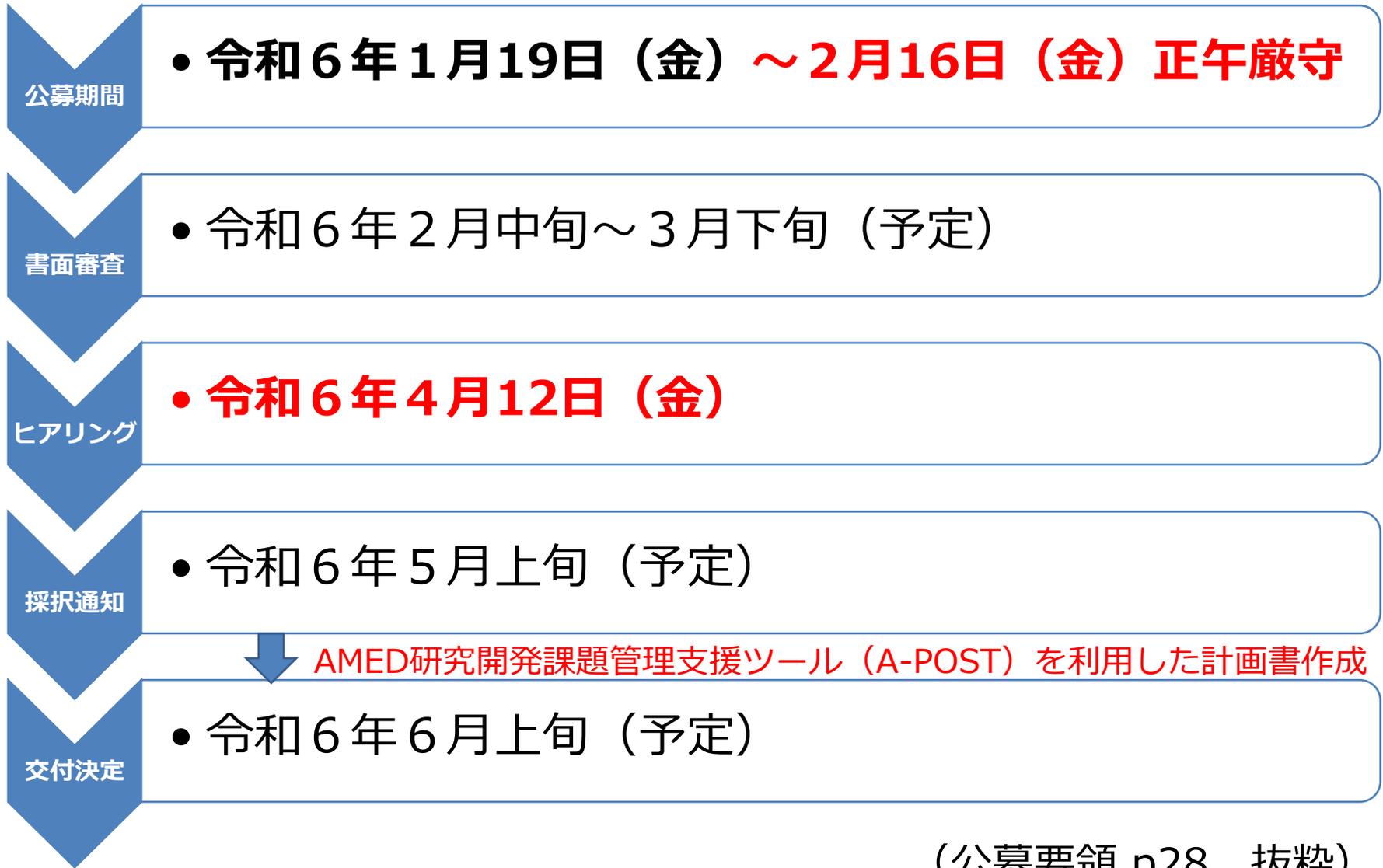
事務処理説明書・様式集 (https://www.amed.go.jp/keiri/youshiki_itaku.html)

提出書類

(公募要領 p21、抜粋)

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	別紙_再生医療等製品開発に向けたTPP	
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

公募期間・選考スケジュール



（公募要領 p28、抜粋）

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※ 1、新規性※ 2、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
- ※ 1 rTRにおいては臨床研究経験に基づいた新たな発想
※ 2 rTRにおいては臨床研究経験を踏まえた新たな展開性

計画の妥当性

- 全体計画の内容と目的は明確であるか（実用化に向けた道筋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

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
- チーム型として、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
- チーム型として、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

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
- チーム型として、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

（公募要領 p14-17、抜粋）

- 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。

（公募要領 p14-17、抜粋）

- 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。

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”の部分をも@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。