

再生医療実現拠点ネットワークプログラム

(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)

令和4年度公募課題説明会

2022年1月12日(水)

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



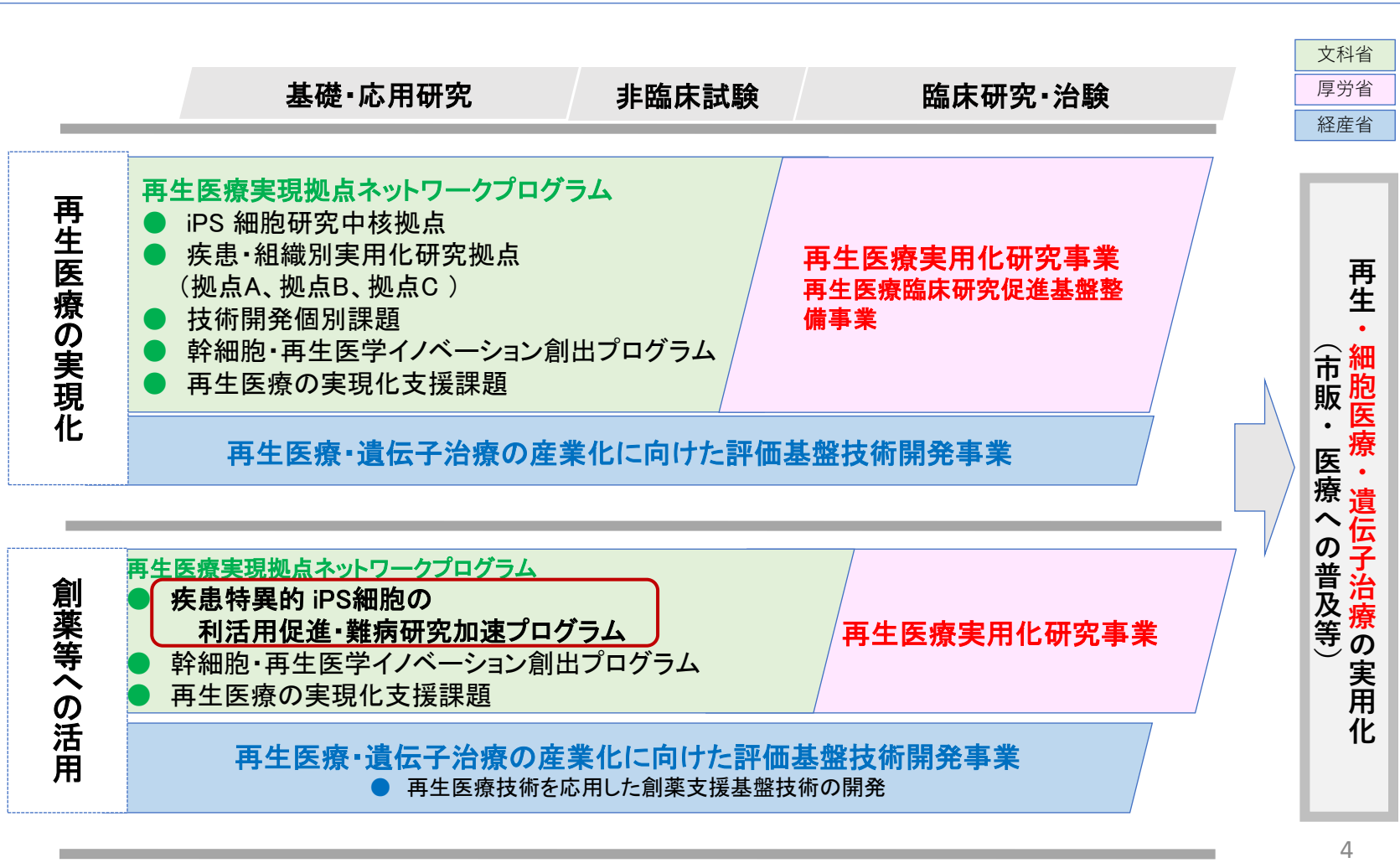
本日の内容

- 事業説明
- 公募研究開発課題の概要
- 審査の観点
- 提案書類作成上の留意点
- 個別質問

事業説明

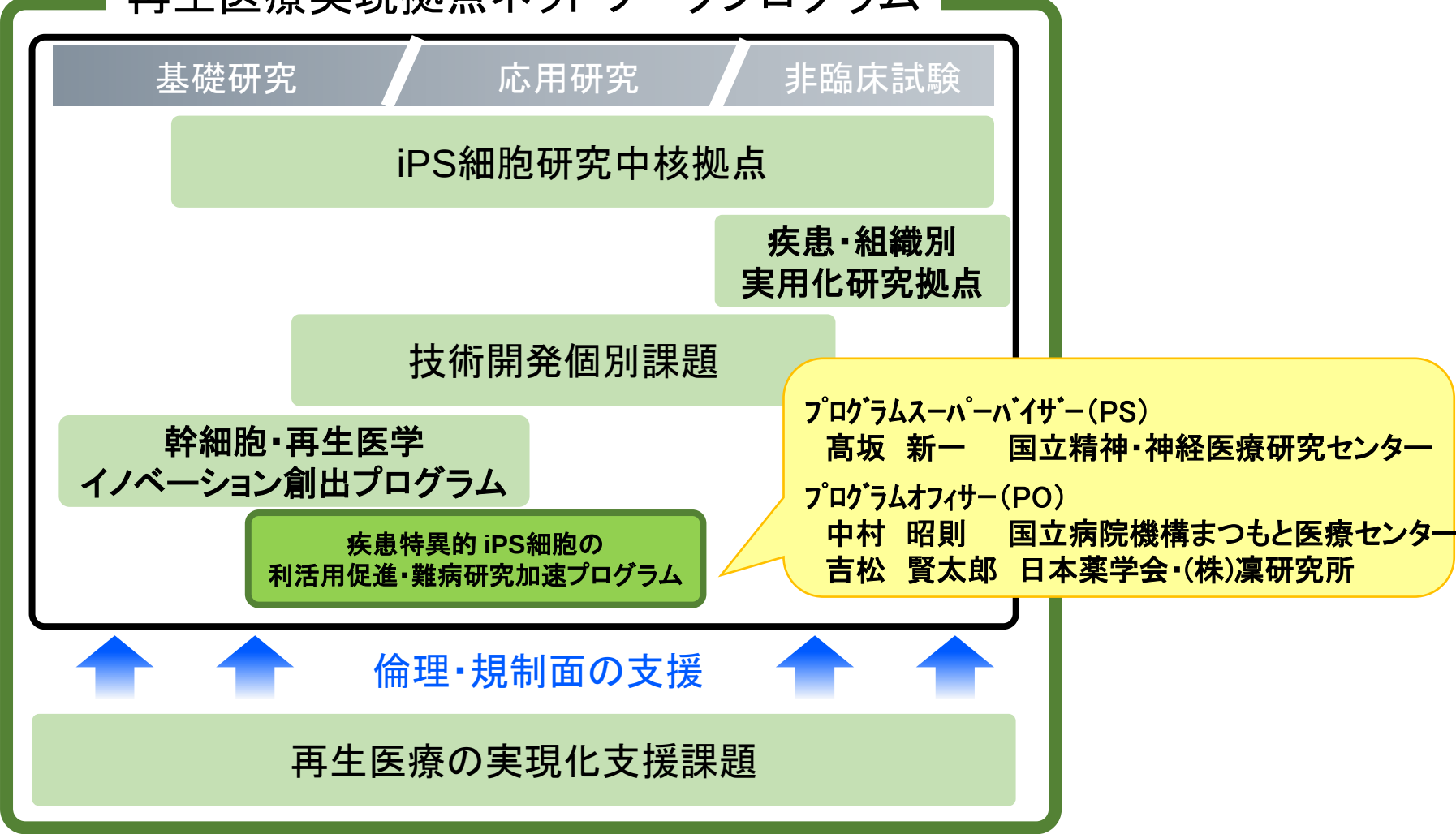


基礎から臨床段階まで切れ目なく一貫した支援を行うとともに、再生医療関連事業のための基盤整備ならびに、iPS細胞等の創薬支援ツールとしての活用に向けた支援を進め、新薬開発の効率性の向上を図る。



本事業の位置づけ

再生医療実現拠点ネットワークプログラム



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

【事業趣旨】

疾患特異的iPS細胞を用いた疾患発症機構の解明、創薬研究や予防・治療法の開発等をさらに加速させるとともにiPS細胞の利活用を促進することにより、iPS細胞等研究の成果を速やかに社会に還元することを目指す

【事業目標】

疾患特異的iPS細胞を用いた

- ・病態解明、創薬や予防・治療薬の開発促進
- ・iPS細胞技術の普及と支援によるヒトiPS細胞に関する情報共有のプラットフォームの創設
- ・分化誘導法に関する開発&検証を促進し、iPS細胞利活用の環境整備

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

① 研究拠点Ⅰ（H29～R4）

- 疾患特異的iPS細胞の樹立、目的細胞への分化誘導、創薬に向けた難病等の病態解明
- 企業と連携した創薬スクリーニング系の確立等

② 研究拠点Ⅲ（R2～4）

- 疾患特異的iPS細胞の樹立、目的細胞への分化誘導、創薬に向けた難病等の病態解明

③ ロバストな分化誘導法開発課題（R2～4）

- 様々なiPS細胞株やクローンで適用可能で、培養環境や手技による影響が小さい分化誘導法の開発

④ 病態解明課題（R3～5）

- 疾患特異的iPS細胞を活用した難病等の病態解明

⑤ 研究者マッチング・共同研究促進課題（R2～4）

- 疾患研究者とiPS細胞研究者との最適なマッチング
- iPS細胞を活用した、共同研究による疾患研究の促進

⑥ ヒトiPS細胞バンク充実課題（R2～4）

- バンクに寄託されたiPS細胞が多くの研究者や企業に活用される環境を整備



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)

新規公募課題（R4～R6）

- ⑦ 難病等疾患特異的iPS細胞の樹立・バンク拡充課題
- ⑧ 疾患付随情報充実バンク課題

- iPS細胞技術の普及・支援
- iPS細胞を用いた疾患研究の推進
- 治療薬の創出促進

公募研究開発課題の概要

令和4年度 公募研究開発課題 募集テーマの概要

■ 公募期間: 令和3年12月28日(火)～令和4年2月14日(月)正午 厳守

疾患特異的iPS細胞を用いた研究加速及び研究に必要な技術普及のため、iPS細胞バンクの充実を図る

	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	難病等疾患特異的 iPS細胞の樹立・ バンク拡充課題	1課題当たり年間 50,000千円程度	最長3年 令和4年度～ 令和6年度	0～1 課題 程度
2	疾患付随情報充実 バンク課題	1課題当たり年間 40,000千円程度※	最長3年 令和4年度～ 令和6年度	0～3 課題 程度

※新たな全ゲノムデータなどの取得に際しては、15,000千円程度(間接経費含む)の追加支援を行うことがあります

難病等疾患特異的iPS細胞の樹立・バンク拡充課題

【目標】

- ◆ 理研BRCバンクと連携して理研BRCバンクの疾患特異的iPS細胞の利活用促進
- ◆ 1年間に50症例程度の疾患特異的iPS細胞の樹立・寄託

【実施内容概要】

必須条件: 対象疾患の特異的iPS細胞を樹立できる技術が確立している
機関の参加

対象疾患: 主に指定難病を中心とし、アカデミア・企業の要望調査等で決定

- ・現在BRCバンクに寄託されていない指定難病等
- ・すでに寄託されているが症例数の少ない指定難病等

症例数: 対象疾患の研究に活用できる症例数を目標と定め、その根拠を明示

付随情報: 病歴や確定診断の元になる疾患情報を含む基本的な患者情報および
品質管理内容を理研BRCバンクに提供

疾患付随情報充実バンク課題

【目標】

特定の疾患や対象領域に特化し、症例数や付随情報を特に充実した細胞バンクを構築

- ◆ 対象疾患の患者リクルート数、疾患特異的iPS細胞の樹立・寄託数
- ◆ 患者情報や付随情報の具体的内容
- ◆ 病態解明研究：研究目標とマイルストーン、特許出願数

【実施内容】

対象疾患：アカデミア・企業等の要望を調査し結果を反映して決定

- (推奨) 成果として疾患の分類や疾患概念の整理につながる疾患
- (推奨) 本事業で層別化やバイオマーカーの確立を目標できる疾患
- (推奨) ヒトiPS細胞を使うことで病態モデルや疾患モデルの作成が可能となる疾患

必須条件：対象疾患の特異的iPS細胞を樹立できる技術が確立している機関が参加
★疾患研究も計画する場合は、目的細胞への分化誘導技術を既に確立

症例数：疾患特性や遺伝的背景に応じて広く疾患研究に活用できるような症例を収集し、その根拠を明示

疾患付随情報充実バンク課題

【実施内容概要】

提案するバンク：既存バンクに対する優位性・補完性を明確化

例：既存バンクには寄託されていない難病等を対象疾患とする（これは必須ではありません）。遺伝子変異と疾患表現系との関連性が判っていない疾患を対象とし、最終的には既存バンクの細胞では不可能な「疾患の分類や疾患概念の整理」、「層別化やバイオマーカーの確立」を可能とする疾患で「ヒトiPS細胞を使うことで病態モデルや疾患モデルの作成が可能」となる疾患を対象として、これらのための疾患情報等の付随情報を収集することが優位性・補完性の一例となります。

研究体制：幅広く患者をリクルートできる体制

➤ 患者リクルート連携先例

対象患者が一定数いる病院や施設、既存の疾患コホート、厚労研究班
AMED内外の事業（バイオバンクも含む）

➤ 既存情報の活用

バイオバンク等ですでに取得されている全ゲノム情報・臨床情報・患者検体を活用できる体制（推奨）

★すでに取得された情報・検体の取り扱いに関するICFの内容を十分確認し、本事業推奨のICFを参照し、研究が確実に遂行できるよう立案。

疾患付随情報充実バンク 課題

【実施内容】

➤ その他

- ・新たに患者の全ゲノム情報取得して研究を計画する際は、**必要性を明示**
★必要に応じて年間15,000千円程度(間接経費含む)を上限に追加支援
- ・患者検体は原則血液を採取し、iPS細胞を樹立
★**検体(血液等)・iPS細胞、付随情報を理研BRCに寄託**
- ・付随情報(疾患情報、全ゲノム情報、分化誘導法、家系情報等)を収集
★多因性疾患や慢性疾患は病歴の定期的な更新
- ・疾患研究：**一部検体を用いた疾患研究も可とするが、研究費は年間10,000千円程度(間接経費含む)を上限**
★疾患特異的iPS細胞の樹立・維持・分化誘導技術、病態解析技術の高度化・効率化・疾患メカニズム解明、立体培養や複数種類の細胞を用いた病態・疾患モデルの作成、分化細胞の表現系解析
★新たなモダリティ技術(mRNA, microRNA, siRNA, エクソーム等)の活用も可

留意事項

公募要領 P12-P13

◆インフォームドコンセント(IC)

- 新たな患者から同意取得の際には、寄託細胞やそれから分化誘導した細胞の販売を可能とし、動物性集合胚作成も可とする本事業推奨ICFの内容を反映させたICF、または寄託細胞やそれから分化誘導した細胞の販売のみを可能とするICを用いる
- 既に同意を得た細胞の場合、可能な限り推奨ICFの内容を反映させたICFで再同意を得て理研BRCバンクに寄託

◆樹立、寄託、公開

- 樹立したiPS細胞及び原料となった体細胞は原則同時に理研BRCに寄託
- コントロール細胞を作製した場合も理研BRCに寄託
- 付随情報としてのゲノムデータについてはバイオサイエンスデータベースセンター(NBDC)に寄託して、理研BRCバンクに寄託した細胞と紐付け
- 品質確認項目(維持培養中の形態写真、樹立に使用したベクターの残存しないことの確認、未分化マーカーの確認、核型解析、マイコプラズマ感染がないことの確認)の実施が必須。
- ウィルス感染検査をして、血液細胞由来のiPS細胞の場合はHIV及びHTLVが陰性である事、肝臓細胞由来の場合にはHBV及びHIVが陰性である事を確認
- 理研BRCに寄託する際、利用条件をつけることは可能だが、研究促進の観点からなるべく利用制限を少なくする

応募資格者

以下の要件を満たす**国内の研究機関等に所属し、かつ主たる研究場所とし、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などの責任を担う研究者**(研究開発代表者)とする。

(1) 国内の研究機関等

課題が採択された場合に、

(2) 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) 契約手続き等の事務を行うことができること

(4) 本事業実施により発生する知的財産権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。

本事業終了後も、

(5) 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。

審査の観点

審査基準と評価方法

公募要領 P15-P18

【審査方法・非公開】

外部有識者による課題評価委員会を設置し、書面審査及び必要に応じたヒアリング審査を行い、審議により評価する

【審査項目】

- ① 事業趣旨等との整合性
- ② 科学的・技術的な意義及び優位性
- ③ 計画の妥当性
- ④ 実施体制
- ⑤ 所要経費
- ⑥ 事業で定める項目及び総合的に勘案すべき項目

分担機関を設定した研究開発課題を提案する場合は、研究開発を遂行する上での**分担機関の必要性と、分担機関における研究開発の遂行能力**等も評価の対象となる。

審査方法・項目

🏠 公募要領 P15-P18

① 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

② 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

◆ 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

◆ 社会的ニーズへ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

審査方法・項目

👉 公募要領 P15-P18

③ 計画の妥当性

- ◆ 全体計画の内容と目的は明確かつ妥当であるか
- ◆ 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

④ 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
- ◆ 申請者等のエフオートは適切であるか
- ◆ 不合理な重複／過度の集中は無い

⑤ 所要経費

- ◆ 経費の内訳、支出計画等は妥当であるか

審査方法・項目

👉 公募要領 P15-P18

⑥事業で定める項目及び総合的に勘案すべき項目

○ 難病等疾患特異的iPS細胞の樹立・バンク拡充課題

- ◆ iPS細胞製作対象疾患の選定に関する計画は妥当か
- ◆ 選定された対象疾患やその症例数は妥当か
- ◆ 樹立したiPS細胞の品質保証体制は妥当か
- ◆ 患者体細胞とともに患者情報を収集する体制に関する計画は十分か
- ◆ 理研BRCバンクとの連携体制についての計画は十分か
- ◆ 倫理的問題への取り組みについての体制構築について

患者試料、患者情報などを関連指針に則って取り扱う体制の構築は十分か

機関内の生命倫理、安全対策などに関わる審査体制等は確立しているか

審査方法・項目

👉 公募要領 P15-P18

⑥事業で定める項目及び総合的に勘案すべき項目

○ 疾患付随情報充実バンク課題

- ◆ 対象疾患の選定に関する計画は妥当か
- ◆ iPS細胞を用いた疾患研究に適した(iPS細胞を用いる優位性がある)対象疾患か
- ◆ 選定された対象疾患の症例数は妥当か
- ◆ 患者体細胞とともに患者情報を収集する体制・内容に関する計画は十分か
- ◆ 理研BRCバンクとの連携体制についての計画は十分か
- ◆ 倫理的問題への取り組みについての体制構築について
患者試料、患者情報などを関連指針に則って取り扱う体制の構築は十分か
- ◆ 機関内の生命倫理、安全対策などに関わる審査体制等は確立しているか

提出書類作成上の留意点

提出書類の作成

👉 公募要領 P18-P22

◆ 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下さい

https://www.amed.go.jp/koubo/13/01/1301B_00012.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)R4年度(必須)

◆ 提出方法 e-Rad*による申請

* 府省共通研究開発管理システム

受付期間: 令和3年12月28日(火)～令和4年2月14日(月)正午(厳守)

※e-Radへの登録において行う作業についてはe-Radの利用可能時間帯のみですのでご注意ください

※提出書類はPDF形式でアップロードして下さい(最大容量は15MB)

※記載要領等に従い、必要な内容を誤りなく記載してください

※文字化けしていないか内容を必ず確認して下さい

受付期間終了後は提出頂いた提案書類の差し替えなどには応じられません

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4年度 研究経費※2	エフ オー ト (%)
	生年月(年) 月 日 時 年4月1日時 研究者番号		学位(最終学歴) 学位取得年 役割分担		
研究開発代表者	〇〇 〇〇	〇〇〇〇大学	△△△		
	S49/11 (XX)	△△△学部△△△学科	△△博士(〇〇) 〇〇年 H14年	<u>X,XXX</u>	XX
	12345678	△△△	研究の統括		
		(主たる研究場所) ※1 △□大学 △△△学部△△△学科 □□□		<u>X,XXX</u>	XX
研究開発分担者	□□ 〇〇	△□大学			
	S50/11 (XX)	△△△学部△△△学科	△△△(学)	<u>X,XXX</u>	XX
	98765432	□□□	データの解析		

e-Radの研究者番号
を記載する

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、直接経費で千円単位で記載してください

提案書作成上の留意点

1 研究目的←

- 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）で作成して下さい。←
- 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。←

←

- ・ 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

提出書類の作成にあたっての注意

👉 研究開発提案書参照

2 研究計画・方法 (2)研究計画・方法

研究目的を達成するための具体的な研究計画及び方法を記載する。

* 3頁以内(別紙1、2、3は含みません。文字は10または10.5ポイント)

■ 研究計画を遂行するための研究体制について、「研究開発代表者」、「研究開発分担者」及び研究協力者等の具体的な役割を明確に記載してください。

■ 複数年度にわたる研究の場合には、研究全体の計画と年次計画との関係がわかるように記載してください。

■ iPS細胞を樹立する対象疾患を選択した理由、および目標症例数・付随情報等の内容の設定根拠を明確に記載してください。

■ その他、研究開発の主なスケジュール(ロードマップ)、実施体制図等は、それぞれ別紙2、3として添付してください。

○ 疾患付随情報充実バンク課題

■ 疾患研究を計画する場合は、その具体的な研究計画及び方法(2頁以内)も作成して下さい。

* この課題は全体研究計画(3頁以内)で、疾患研究を計画する場合は疾患研究計画内容(2頁以内)を追加し、合計5頁以内となります

今後のスケジュール

提案書類受付期間（×切日）	令和4年2月14日（月） 正午
書面審査	令和4年2月中旬～令和4年2月下旬（予定）
ヒアリング審査	令和4年3月18日（金）、3月24日（木）（予定）
採択可否の通知	令和4年4月中旬（予定）
研究開発開始（契約締結等）	令和4年5月中旬（予定）

公募要領を熟読し、提案書を記載してください

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・遺伝子治療事業部 再生医療研究開発課

再生医療実現拠点ネットワークプログラム

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

公募担当

E-mail: [saiseinw"AT"amed.gp.jp](mailto:saiseinw@amed.gp.jp)

※お問い合わせは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@に変えて下さい

